



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414365/2013  
EMA/H/C/002522

## EPAR santrauka plačiamai visuomenei

---

### MACI

ant matricos perkelti charakterizuoti autologiniai kultivuoti chondrocitai

Šis dokumentas yra MACI Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti MACI.

Praktinės informacijos apie MACI vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

### Kas yra MACI ir kam jis vartojamas?

MACI – tai implantas, kurį naudojant taisomi kelio sąnario kaulų galuose esantys kremzlės defektai. Implantą sudaro paties paciento kremzlės ląstelės, perkeltos ant 14,5 cm<sup>2</sup> dydžio kolageno membranų, kuriomis chirurgas užpildo ertmes tose vietose, kur kremzlė pažeista.

MACI šalinami viso storio 3–20 cm<sup>2</sup> paviršiaus ploto kremzlės defektai, diagnozuoti suaugusiesiems, kurie jaučia tokių defektų sukeltus simptomus (pvz., judinant kelią skauda ar pasireiškia tam tikrų sunkumų).

MACI yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis audinių inžinerijos preparatas. Tai vaistai, kuriuose yra manipuluotų ląstelių arba audinių, kuriuos galima naudoti audiniui pataisyti, regeneruoti arba pakeisti.

### Kaip vartoti MACI?

Pirmame gydymo etape iš paciento sąnario paimamos kremzlės ląstelės ir jos auginamos laboratorijoje. Vėliau ląstelės perkeliama ant kolageno membranos. Praėjus maždaug 6 savaitėms, chirurgas suformuoja membraną, kad ji atitiktų pažeistą kelio kremzlės sritį, ir tuomet operacijos metu ją implantuoja. Siekiant pritvirtinti implantą ant kremzlės, naudojami tam tikri klijai, vadinami fibrino audinių klijais, kurie pagaminti iš kraujo krešėjime dalyvaujančių baltymų.



MACI gali įsodinti tik naudoti šį preparatą specialiai parengtas ir kvalifikuotas chirurgas, o preparatą galima įsigyti tik pateikus receptą.

## **Kaip veikia MACI?**

Veiklioji MACI medžiaga yra paties paciento kremzlės ląstelės, kurios įsodinamos į pažeistą kelio kremzlę. Ląstelėmis užpildoma ertmė toje vietoje, kur kremzlė pažeista, ir taip atkuriamos pažeistos sąnario vietos bei pašalinami pacientui pasireiškiantys simptomai, kaip antai skausmas ir sunkumai, kurių išskyla judinant kelią.

## **Kokia MACI nauda nustatyta tyrimuose?**

MACI buvo lyginamas su mikrolūžių procedūra (chirurgine procedūra, kuri paprastai atliekama gydant kremzlės defektus) atliekant pagrindinį tyrimą, kurio metu buvo vertinamas skausmo palengvėjimas ir kelio funkcijos pagerėjimas gydant pacientus, kuriems diagnozuoti viso storio kelio sąnario kremzlės defektai. Tyrime dalyvavo 144 suaugusieji, kuriems buvo nustatyti 3–20 cm<sup>2</sup> dydžio kremzlės defektai. Skausmas ir kelio funkcija buvo vertinami pagal standartinę skalę, vadinamą kelio pažeidimo ir osteoartrito pasekmių skale (angl. *knee injury and osteoarthritis outcome score*, KOOS), kurioje 0 reiškia labai didelius sutrikimus, o 100 – kad sutrikimų nėra. Atlikus tyrimą, nustatyta, kad MACI yra veiksmingesnis už mikrolūžių procedūrą siekiant palengvinti skausmą ir pagerinti kelio funkciją – praėjus dvejiems metams po operacijos, vidutinis MACI gydytų pacientų juntamo skausmo vertinimo balų skaičius buvo 82, o kelio funkcijos – 61, o pacientų, kuriems buvo atlikta mikrolūžių procedūra - atitinkamai 71 ir 49. MACI gydytų pacientų ir skausmo, ir kelio funkcijos vertinimas pagerėjo maždaug 45 balais, o pacientų, kuriems atlikta mikrolūžių procedūra – maždaug 35 balais.

## **Kokia rizika siejama su MACI naudojimu?**

Maždaug 1–10 MACI gydytų pacientų iš 1000 gali pasireikšti pernelyg intensyvus kremzlės augimas ir transplantatas gali atsiskirti nuo pažeistos kremzlės. Kiti svarbūs pavojai – tai su pačia operacija susiję šalutiniai reiškiniai, įskaitant infekciją, uždegimą, hemoartrozę (kraujavimą sąnariuose), artrofibrozę (audinio surandėjimą sąnariuose) ir tromboembolinius reiškinius (krešulius). Išsamų visų šalutinių reiškinų, apie kuriuos pranešta gydant MACI, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

MACI negalima implantuoti pacientams, kuriems diagnozuotas sunkus kelio osteoartritas (patinimas ir skausmas), uždegiminė sąnarių liga arba nekoreguoti įgimti kraujo krešėjimo sutrikimai. Taip pat MACI negalima implantuoti pacientams, kurių šlaunikaulio augimo plokštelės ne visiškai uždaros. Augimo plokštelės užsidaro (arba sutvirtėja), kai vaiko skeletas subręsta ir kaulai nustoja augti.

## **Kodėl MACI patvirtintas?**

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) atkreipė dėmesį, kad pagrindinis tyrimas patvirtino, jog MACI yra pranašesnis už mikrolūžių procedūrą gydant pacientus, kuriems diagnozuoti kelio sąnario kremzlės defektai. Be to, MACI gydytiems pacientams pasireiškė mažiau šalutinių reiškinų, nei pacientams, kuriems buvo atlikta mikrolūžių procedūra.

Įvertinus MACI, nustatyta, kad šis vaistas atitinka pažangiosios terapijos vaistus reglamentuojančio ES reglamento nuostatas, pagal kurias Europos vaistų agentūra turi įvertinti visus ES valstybėse narėse parduodamus pažangiosios terapijos vaistus, kad galėtų suteikti visoje ES galiojantį jų rinkodaros leidimą. Komitetas atkreipė dėmesį, kad tokios gydymo priemonės kaip MACI jau plačiai naudojamos klinikinėje praktikoje ir kad pagrindinio tyrimo rezultatai neprieštarauja mokslinėje literatūroje skelbiamiems rezultatams.

Todėl CHMP priėjo prie išvados, kad MACI nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Kadangi MACI yra pažangiosios terapijos preparatas, iš pradžių jį įvertino Pažangiosios terapijos komitetas (CAT). CHMP rekomendacija pagrįsta pirminiu CAT vertinimu.

### **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą MACI vartojimą?**

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį MACI vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į MACI preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Be to, chirurgai ir sveikatos priežiūros specialistai, gydantys pacientus šiuo vaistu, gaus šviečiamąją medžiagą, kurioje bus pateiktos išsamios instrukcijos, kaip naudoti MACI, bei informacija apie riziką ir būtinybę stebėti MACI gydytus pacientus.

### **Kita informacija apie MACI**

Europos Komisija 2013 m. birželio 27 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį MACI rinkodaros leidimą.

Išsamų MACI EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Daugiau informacijos apie gydymą MACI rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2013-06.