



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414596/2013  
EMA/H/C/002522

## **EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai**

### **MACI**

matricē ievietoti raksturīgi autologi kultivēti hondrocīti

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (*EPAR*) kopsavilkums par *MACI*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra novērtēja šīs zāles, pirms ieteikt tās reģistrēt ES un sniegt ieteikumus par *MACI* lietošanu. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *MACI* lietošanu.

Lai iegūtu praktisku informāciju par *MACI* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsaazinās ar ārstu vai farmaceitu.

### **Kas ir *MACI* un kāpēc tās lieto?**

*MACI* ir implantāts, ko lieto skrimšļa defektu labošanai ceļa locītavas kaulu galos. Tas satur paša pacienta skrimšļa šūnas uz 14,5 cm<sup>2</sup> lielām kolagēnām membrānām, kuras ķirurgs izmanto, lai aizpildītu skrimšļa bojātās vietas.

*MACI* lieto, lai labotu pilna biezuma defektus ar virsmas laukumu 3–20 cm<sup>2</sup> pieaugušajiem, kuriem ir simptomi (piemēram, sāpes un ceļa locītavas kustību traucējumi).

*MACI* ir uzlabotās terapijas zāļu veids, ko sauc par “audu inženierijas zālēm”. Tas ir zāļu veids, kuru sastāvā ir šūnas vai audi, kas apstrādāti, lai izmantotu audu atjaunošanai vai aizvietošanai.

### **Kā lieto *MACI*?**

Pirmajā ārstēšanas posmā no pacienta locītavas paņem skrimšļa šūnu paraugu un audzē laboratorijā. Pēc tam šūnas novieto uz kolagēna membrānas. Aptuveni pēc sešām nedēļām ķirurgs pielāgo membrānu, lai tā atbilstu ceļa skrimšļa bojājuma laukumam, un pēc tam to implantē, veicot operāciju. Implantāta fiksēšanai uz skrimšļa izmanto fibrīna līmi, kas ir pagatavota no asinsreces olbaltumvielām.

*MACI* drīkst lietot vienīgi īpaši apmācīts un šo zāļu lietošanā kvalificēts ķirurgs, un šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.



## Kā MACI darbojas?

MACI aktīvā viela satur paša pacienta skrimšļa šūnas, kas tiek implantētas ceļa skrimšļa defektā. Šūnas izmanto, lai piepildītu skrimšļa bojājuma vietu, tādējādi atjaunojot bojātos apvidus un palīdzot mazināt pacienta simptomus, piemēram, sāpes un ceļa locītavas kustību traucējumus.

## Kādas bija MACI lietošanas priekšrocības šajos pētījumos?

Pamatpētījumā, kurā vērtēja sāpju mazināšanos un ceļa locītavas funkciju uzlabošanos pacientiem ar pilna biezuma ceļa locītavas skrimšļa defektiem, MACI salīdzināja ar mikrolūzumu metodi (ķirurģiska procedūra, ko parasti izmanto skrimšļa defektu ārstēšanai). Pētījumā piedalījās 144 pieaugušie ar 3–20 cm<sup>2</sup> lieliem bojājumiem. Sāpju un ceļa locītavas funkcijas vērtēšanai izmantoja standarta skalu, ko dēvē par "Ceļa locītavas traumas un osteoartrīta iznākuma skalu" (*knee injury and osteoarthritis outcome score: KOOS*), kur ar 0 apzīmē galējas problēmas un ar 100 – problēmu neesamību. Pētījums liecināja, ka MACI efektīvāk nekā mikrolūzumu metode mazina sāpes un uzlabo ceļa locītavas funkciju: divus gadus pēc operācijas ar MACI ārstētiem pacientiem vidējais sāpju vērtējums bija 82, bet vidējais ceļa locītavas funkcijas vērtējums – 61, salīdzinot ar attiecīgi 71 un 49 ar mikrolūzumu metodi ārstētiem pacientiem. Gan sāpju, gan funkcijas ziņā konstatēja uzlabošanos par aptuveni 45 punktiem ar MACI ārstētiem pacientiem, salīdzinot aptuveni ar 35 punktiem pacientiem, kuriem izmantoja mikrolūzumu metodi.

## Kāds risks pastāv, lietojot MACI?

Pārmērīga skrimšļa augšana un implantāta atslāņošanās iespējama 1–10 no 1000 ar MACI ārstētiem pacientiem. Citi nozīmīgi riska faktori ir saistīti ar pašu operāciju, tostarp infekcija, iekaisums, hemartroze (asinis locītavas dobumā), artrofibroze (rētaudi locītavas dobumā) un trombemboliski traucējumi (asins recekļi). Pilns visu MACI izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

MACI nedrīkst lietot pacientiem ar smagu ceļa osteoartrītu (pietūkumu un sāpēm), locītavu iekaisuma slimību vai nekorigētiem iedzimtiem asinsreces traucējumiem. MACI nedrīkst lietot arī pacientiem, kuriem nav pilnībā noslēgušās augšstilba kaulu augšanas plātnītes. Augšanas plātnītes noslēdzas (jeb sacietē), kad bērna skelets ir nobriedis un kauli vairs neaug.

## Kāpēc MACI tika apstiprinātas?

Aģentūras Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) ņēma vērā, ka pamatpētījumā pierādīts, ka MACI ir pārāks par mikrolūzumu metodi, ārstējot pacientus ar ceļa skrimšļa bojājumiem. Turklāt ar MACI ārstētiem pacientiem bija mazāk blakusparādību nekā ar mikrolūzumu metodi ārstētiem pacientiem.

MACI uzskatīja par atbilstošu Eiropas Savienības regulai par uzlabotas terapijas zālēm, kas nosaka, ka visas uzlabotās terapijas zāles Eiropas Savienības dalībvalstīs ir jānovērtē EMA, lai tām varētu izsniegt reģistrācijas apliecību, kas ir spēkā visā Eiropas Savienībā. Komiteja ņēma vērā, ka tādi ārstēšanas līdzekļi kā MACI jau tiek izmantoti klīniskā praksē un ka pamatpētījuma rezultāti atbilda zinātniskajā literatūrā pieejamiem rezultātiem.

Tādēļ CHMP nolēma, ka pacientu ieguvums, lietojot MACI, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica tās apstiprināt lietošanai ES.

MACI ir uzlabotas terapijas zāles, tādēļ tās sākotnēji novērtēja Uzlabotas terapijas zāļu komiteja (CAT). CHMP ieteikums ir balstīts uz sākotnējo CAT veikto novērtējumu.

## **Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu *MACI* lietošanu?**

Lai nodrošinātu iespējami nekaitīgu *MACI* lietošanu, ir izstrādāts riska pārvaldības plāns. Pamatojoties uz šo plānu, *MACI* zāļu aprakstā ietverta drošuma informācija, kā arī lietošanas instrukcija, tostarp attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Turklāt ķirurgi un veselības aprūpes speciālisti, kuri tiks iesaistīti pacientu ārstēšanā ar *MACI*, saņems izglītojošus materiālus, kuros sniegti sīki norādījumi par *MACI* lietošanu, kā arī informācija par tā radīto risku un nepieciešamību novērot ar *MACI* ārstētos pacientus.

## **Cita informācija par *MACI***

Eiropas Komisija 2013. gada 27. jūnijā izsniedza *MACI* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *MACI* *EPAR* teksts ir pieejams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *MACI* atrodama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir *EPAR* daļa) vai, sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 06.2013.