



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/282918/2013
EMA/H/C/002522

EPAR-samenvatting voor het publiek

MACI

Op een matrix aangebrachte, gekarakteriseerde, autologe, gekweekte chondrocyten

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor MACI. Het geeft uitleg over hoe het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van MACI.

Voor praktische informatie over het gebruik van MACI dienen patiënten de bijsluiter te lezen of contact op te nemen met hun arts of apotheker.

Wat is MACI en wanneer wordt het voorgeschreven?

MACI is een implantaat dat wordt gebruikt voor het herstel van kraakbeendefecten aan het uiteinde van de botten van het kniegewricht. Het bestaat uit de eigen kraakbeencellen van de patiënt op 14,5 cm² grote collageenmembranen, die door een chirurg worden gebruikt om de plekken waar kraakbeen beschadigd is, op te vullen.

MACI wordt gebruikt om defecten over de volledige dikte van het kraakbeen met een oppervlakte tussen 3 en 20 cm² te herstellen bij volwassenen die symptomen ondervinden (zoals pijn en problemen met het bewegen van de knie).

MACI is een type geneesmiddel voor geavanceerde therapie dat 'weefselmanipulatieproduct' wordt genoemd. Dit is een type geneesmiddel dat bestaat uit cellen of weefsels die zijn gemanipuleerd zodat ze kunnen worden gebruikt om weefsel te herstellen, te regenereren of te vervangen.

Hoe wordt MACI gebruikt?

Tijdens de eerste fase van de behandeling wordt een monster kraakbeencellen uit het gewricht van de patiënt genomen om deze in een laboratorium te laten groeien. Vervolgens worden de cellen op het collageenmembraan aangebracht. Ongeveer zes weken later vormt de chirurg het membraan zodanig



dat het op de beschadigde plek van het kniekraakbeen past en wordt het door middel van een chirurgische ingreep geïmplant. Een hechtingsmiddel op basis van fibrine, dat wordt gemaakt van bloedstollingseiwitten, wordt gebruikt om het implantaat op het kraakbeen op zijn plaats te houden.

MACI mag alleen worden gebruikt door een chirurg die specifiek opgeleid en gekwalificeerd is om het product te gebruiken, en het product is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

Hoe werkt MACI?

De werkzame stof in MACI bestaat uit de eigen kraakbeencellen van de patiënt, die worden geïmplant in het kraakbeendefect in de knie. De cellen worden gebruikt om de plekken waar het kraakbeen beschadigd is, op te vullen, waardoor de beschadigde gebieden zich regenereren en de symptomen die bij de patiënt optreden, zoals pijn en problemen met het bewegen van de knie, kunnen worden weggenomen.

Welke voordelen bleek MACI in onderzoeken te hebben?

MACI werd vergeleken met microfractuur (een chirurgische ingreep die vaak wordt toegepast bij de behandeling van kraakbeendefecten) in een groot onderzoek waarbij werd gekeken naar pijnverlichting en verbeteringen van de kniefunctie van patiënten met defecten over de volledige dikte van het kraakbeen in de knie. Bij het onderzoek waren 144 volwassenen betrokken met defecten met een oppervlakte variërend van 3 tot 20 cm². Er werd een standaardschaal, aangeduid als de KOOS-schaal ('knee injury and osteoarthritis outcome score'), gehanteerd om pijn en kniefunctie te meten, waarbij 0 wijst op extreme problemen en 100 op het ontbreken van problemen. Uit het onderzoek bleek dat MACI werkzamer is dan microfractuur voor pijnverlichting en het verbeteren van de kniefunctie: twee jaar na een chirurgische ingreep haalden patiënten die met MACI waren behandeld een gemiddelde score van 82 voor pijn en 61 voor kniefunctie, ten opzichte van respectievelijk 71 en 49 bij patiënten die werden behandeld met microfractuur. Zowel voor pijn als voor kniefunctie werden verbeteringen van ongeveer 45 punten waargenomen bij patiënten die met MACI waren behandeld, ten opzichte van ongeveer 35 punten bij patiënten die microfractuur ondergingen.

Welke risico's houdt het gebruik van MACI in?

Overmatige kraakbeengroei en loslating van het implantaat kunnen voorkomen bij 1 tot 10 op de 1 000 patiënten die met MACI worden behandeld. De andere belangrijke risico's, waaronder infectie, ontsteking, hemartrose (bloed in de gewrichten), artrofibrose (littekenweefsel in de gewrichten) en trombo-embolie (bloedstolsels), zijn gerelateerd aan de chirurgische ingreep zelf. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van MACI.

MACI mag niet worden gebruikt bij patiënten met ernstige osteoartritis (zwellen en pijn) van de knie, inflammatoire gewrichtsaandoening of niet-gecorrigeerde aangeboren bloedstollingsstoornissen. MACI mag evenmin worden gebruikt bij patiënten bij wie de groeischijf van het dijbeen niet volledig gesloten is. Groeischijven sluiten (of verharden) wanneer kinderen 'skeletale maturiteit' hebben bereikt en hun botten niet meer groeien.

Waarom is MACI goedgekeurd?

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau merkte op dat uit het grote onderzoek was gebleken dat MACI superieur was aan microfractuur voor de behandeling van patiënten met kraakbeendefecten in de knie. Bovendien traden bij patiënten met MACI minder bijwerkingen op dan bij patiënten die met microfractuur werden behandeld.

MACI werd beoordeeld overeenkomstig de EU-verordening inzake geavanceerde therapieën, waarin is vastgelegd dat alle geavanceerde therapieën door het EMA moeten worden beoordeeld om een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen te verkrijgen. Het CHMP merkte op dat behandelingen zoals MACI reeds in de klinische praktijk ingeburgerd zijn en dat de resultaten van het grote onderzoek overeenkwamen met de resultaten in de wetenschappelijke literatuur.

Het CHMP heeft derhalve geconcludeerd dat de voordelen van MACI groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd MACI voor gebruik in de EU goed te keuren.

Aangezien MACI een geneesmiddel voor geavanceerde therapie is, werd het aanvankelijk beoordeeld door het Comité voor geavanceerde therapieën (CAT). De aanbeveling van het CHMP is gebaseerd op een oorspronkelijke beoordeling door het CAT.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van MACI te waarborgen?

Om een zo veilig mogelijk gebruik van MACI te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiters van MACI veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Bovendien ontvangen chirurgen en professionele zorgverleners die bij de behandeling van patiënten met MACI betrokken zijn, voorlichtingsmateriaal met uitgebreide richtsnoeren over het gebruik van MACI alsook informatie over de risico's ervan en de noodzaak van follow-up van patiënten die met MACI zijn behandeld.

Overige informatie over MACI

De Europese Commissie heeft op 27 juni 2013 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van MACI verleend.

Het volledige EPAR voor MACI is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Zie de bijsluiters (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met MACI.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 6-2013.