



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414369/2013
EMA/H/C/002522

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

MACI

namnożone w hodowli, oznakowane chondrocyty autologiczne naniesione na matrycę

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego produktu leczniczego MACI. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła produkt w celu wydania zaleceń dotyczących pozwolenia na dopuszczenie go do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Celem dokumentu nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania produktu leczniczego MACI.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania produktu leczniczego MACI należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt leczniczy MACI i w jakim celu się go stosuje?

Produkt MACI jest implantem stosowanym w naprawie uszkodzeń chrząstki na zakończeniach kości w stawie kolanowym. Składa się on z komórek chrzęstnych pacjenta naniesionych na błony kolagenowe o powierzchni 14,5 cm², które są używane przez chirurga do uzupełniania miejsc, w których chrząstka jest uszkodzona.

Produkt MACI jest stosowany do naprawy uszkodzeń tkanki o pełnej grubości i powierzchni wynoszącej od 3 do 20 cm² u osób dorosłych odczuwających objawy tych uszkodzeń (takie jak ból i problemy w poruszaniu kolanem).

Produkt MACI jest produktem leczniczym terapii zaawansowanej zwanym „produktem inżynierii tkankowej”. Jest to rodzaj leku składającego się z komórek lub tkanek, które przekształcono w taki sposób, aby mogły zostać użyte do naprawy, odbudowy lub wymiany tkanki.

Jak stosować produkt leczniczy MACI?

W pierwszym etapie leczenia ze stawu pacjenta pobierana jest próbka komórek tkanki chrzęstnej do hodowli w laboratorium. Następnie komórki nanosi się na membranę kolagenową. Około 6 tygodni później chirurg formuje membranę w taki sposób, aby pasowała ona do uszkodzonego obszaru



chrząstki kolana, a następnie wszczepia ją podczas zabiegu chirurgicznego. W celu przymocowania implantu do chrząstki stosuje tzw. klej fibrynowy, produkowany z białek biorących udział w krzepnięciu krwi.

Produkt MACI powinien być stosowany wyłącznie przez przeszkolonego chirurga z kwalifikacjami do jego stosowania i jest wydawany wyłącznie z przepisu lekarza.

Jak działa produkt leczniczy MACI?

Substancję czynną produktu MACI stanowią własne komórki tkanki chrzęstnej pacjenta, które są wszczepiane w miejsce uszkodzenia chrząstki w kolanie. Komórki wykorzystuje się do wypełnienia przestrzeni, w których tkanka uległa uszkodzeniu, co przyczynia się do regeneracji tych obszarów i ustania objawów takich jak ból i problemy w poruszaniu kolaniem.

Jakie korzyści ze stosowania produktu leczniczego MACI wykazały badania?

Produkt MACI porównano z techniką chirurgiczną znaną jako naprawa metodą mikroślamań (zabieg chirurgiczny powszechnie stosowany w leczeniu uszkodzeń tkanki chrzęstnej) w badaniu głównym, w którym oceniano złagodzenie bólu i poprawę czynności kolana u pacjentów z uszkodzeniami chrząstki kolana o pełnej grubości. W badaniu wzięły udział 144 osoby dorosłe z uszkodzeniami o powierzchni wynoszącej od 3 do 20 cm². Pomiaru odczuwanego bólu i czynności kolana dokonano w skali standardowej, znanej jako skala KOOS (ang. knee injury and osteoarthritis outcome score), w której ocena 0 oznacza skrajne dolegliwości, a ocena 100 oznacza ich zupełny brak. W badaniu wykazano, że produkt MACI jest skuteczniejszy od metody mikroślamań w łagodzeniu bólu i poprawie czynności kolana: dwa lata po zabiegu pacjenci leczeni produktem MACI uzyskali średni wynik oceny wynoszący 82 w odniesieniu do bólu i 61 w odniesieniu do czynności kolana, w porównaniu z wynikiem wynoszącym odpowiednio 71 i 49 u pacjentów leczonych metodą mikroślamań. Zarówno w przypadku bólu, jak i czynności kolana, u pacjentów leczonych produktem MACI zaobserwowano poprawę wyniku o około 45 punktów w porównaniu z poprawą o około 35 punktów u pacjentów poddanych zabiegowi metodą mikroślamań.

Jakie są zagrożenia związane ze stosowaniem produktu leczniczego MACI?

U 1 na 10 do 1 na 1000 pacjentów leczonych produktem MACI może wystąpić nadmierny rozrost tkanki chrzęstnej i odklejenie się implantu. Inne ważne zagrożenia są związane z samym zabiegiem chirurgicznym i obejmują zakażenie, stan zapalny, wylew krwi do stawu, zwłóknienie stawu (bliznowacenie), a także zdarzenia zakrzepowo-zatorowe (zakrzepy). Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem produktu leczniczego MACI znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Produktu leczniczego MACI nie należy stosować u pacjentów z ciężką postacią choroby zwyrodnieniowej stawu kolanowego (obejmującą obrzęk i ból), zapaleniem stawów lub nieleczonymi wrodzonymi zaburzeniami krzepnięcia krwi. Produktu MACI nie należy również stosować u pacjentów, u których nie nastąpił całkowite skostnienie płytki wzrostu kości udowej. Płytki wzrostu kostnieją po osiągnięciu przez dziecko dojrzałości szkieletowej i zakończeniu wzrostu jego kości.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt leczniczy MACI?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) działający przy Agencji zauważył, że w badaniu głównym wykazano przewagę produktu MACI nad zabiegiem metodą mikroślamań w leczeniu pacjentów z uszkodzeniami tkanki chrząstki kolana. Dodatkowo u pacjentów leczonych

produktem MACI wystąpiło mniej działań niepożądanych niż u pacjentów leczonych metodą mikrołamań.

Produkt MACI oceniono jako zgodny z rozporządzeniem UE ws. terapii zaawansowanych, w którym wymagane jest, aby wszystkie terapie zaawansowane w państwach członkowskich UE zostały poddane ocenie EMA w celu ich dopuszczenia do obrotu w całej UE. Komitet zauważył, że terapie takie jak MACI są już stosowane w praktyce klinicznej oraz że wyniki badania głównego są zgodne z wynikami z publikacji naukowych.

W związku z tym Komitet uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu leczniczego MACI przewyższają ryzyko i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE.

Ponieważ produkt MACI jest produktem leczniczym terapii zaawansowanej, został początkowo oceniony przez Komitet ds. Terapii Zaawansowanych (ang. Committee for Advanced Therapies, CAT). Zalecenie CHMP jest oparte na początkowej ocenie dokonanej przez CAT.

Jakie środki przedsięwzięto w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu leczniczego MACI?

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu MACI opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta produktu MACI zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Dodatkowo chirurdzy i personel medyczny biorący udział w leczeniu pacjentów z użyciem produktu MACI otrzymają materiały edukacyjne ze szczegółowymi wskazówkami dotyczącymi stosowania tego produktu oraz informacjami o zagrożeniach związanych z jego stosowaniem i o konieczności prowadzenia badań kontrolnych u pacjentów leczonych tym produktem.

Inne informacje dotyczące produktu leczniczego MACI

W dniu 27 czerwca 2013 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu MACI do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu leczniczego MACI znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem MACI należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także częścią EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 06–2013.