



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414371/2013
EMA/H/C/002522

Rezumat EPAR destinat publicului

MACI

condrocite autologe caracterizate, de cultură, aplicate într-o matrice

Prezentul document este un rezumat al Raportului european public de evaluare (EPAR) pentru MACI. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea MACI.

Pentru informații practice privind utilizarea MACI, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este MACI și pentru ce se utilizează?

MACI este un implant utilizat pentru a repara defectele cartilajului la capetele oaselor articulației genunchiului. Acesta constă din propriile celule cartilaginoase ale pacientului pe membrane de collagen de 14,5 cm², care sunt utilizate de către un chirurg pentru a umple spațiile în care cartilajul este deteriorat.

MACI este folosit pentru a repara defecte profunde cu suprafața de 3-20 cm² la adulții care prezintă simptome (cum ar fi dureri și probleme la mișcarea genunchiului).

MACI este un produs pentru terapie avansată numit „produs realizat prin inginerie tisulară”. Acesta este un tip de medicament care conține celule sau țesuturi manipulate astfel încât să poată fi folosite pentru repararea, regenerarea sau înlocuirea de țesut.

Cum se utilizează MACI?

În prima etapă de tratament, se prelevează o probă de celule cartilaginoase din articulația pacientului și sunt cultivate în laborator. Celulele sunt apoi puse pe membrana de collagen. După aproximativ 6 săptămâni, chirurgul modelează membrana pentru a se potrivi în zona afectată din cartilajul genunchiului și apoi o implantează folosind o procedură chirurgicală. Pentru a fixa implantul pe cartilaj



se utilizează un tip de adeziv, numit substanță de etanșare pe bază de fibrină, care este realizat din proteine pentru coagularea sângelui.

MACI trebuie utilizat numai de către un chirurg instruit în mod specific și calificat să îl folosească, iar produsul poate fi obținut numai pe bază de rețetă.

Cum acționează MACI?

Substanța activă din MACI este formată din propriile celule cartilaginoase ale pacientului, care sunt implantate în defectul cartilajului din genunchi. Celulele sunt folosite pentru a umple spațiul unde cartilajul a fost deteriorat, prin urmare pentru regenerarea zonelor deteriorate și pentru a ajuta la înlăturarea simptomelor pacientului, cum ar fi durere și probleme la mișcarea genunchiului.

Ce beneficii a prezentat MACI pe parcursul studiilor?

MACI a fost comparat cu tehnica chirurgicală a microfracturilor (o procedură chirurgicală frecvent utilizată pentru a trata defectele cartilajului) într-un studiu principal care a analizat ameliorarea durerii și îmbunătățirea funcției genunchiului la pacienți cu defecte ale întregii grosimi a cartilajului de la nivelul genunchiului. Studiul a implicat 144 de adulți cu defecte având suprafețe cuprinse între 3 și 20 cm². Pentru măsurarea durerii și a funcției genunchiului a fost folosită o scală standard, cunoscută sub numele de KOOS (*Knee Injury and Osteoarthritis Outcome Score* – scorul evoluției leziunilor și osteoartritei genunchiului), unde 0 indică probleme extrem de severe și 100 indică absența problemelor. Studiul a demonstrat că MACI este mai eficient decât tehnica chirurgicală a microfracturilor în ameliorarea durerii și îmbunătățirea funcției genunchiului: la doi ani de la operație, pacienții tratați cu MACI au avut un scor mediu de 82 pentru durere și de 61 pentru funcția genunchiului, comparativ cu 71 și, respectiv, 49 pentru pacienții tratați prin tehnica chirurgicală a microfracturilor. Au fost observate ameliorări în ceea ce privește durerea și îmbunătățiri ale funcției cu aproximativ 45 de puncte la pacienții tratați cu MACI, în comparație cu aproximativ 35 de puncte la pacienții care au fost supuși intervenției chirurgicale prin tehnica microfracturilor.

Care sunt riscurile asociate cu MACI?

Creșterea excesivă a cartilajului și desprinderea implantului pot apărea la 1 până la 10 pacienți din 1 000 tratați cu MACI. Celelalte riscuri importante sunt cele legate de procedura chirurgicală în sine, inclusiv infecție, inflamație, hemartroză (sânge în articulații), artrofibroză (țesut cicatricial la nivelul articulațiilor) și evenimente tromboembolice (cheaguri de sânge). Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu MACI, consultați prospectul.

MACI nu trebuie utilizat la pacienții cu osteoartrită severă (umflare și durere) a genunchiului, boală inflamatorie articulară sau tulburări congenitale de coagulare a sângelui necorectate. De asemenea, MACI nu trebuie utilizat la pacienții ale căror cartilaje de creștere la nivelul femurului nu s-au închis complet. Cartilajele de creștere se închid (sau se întăresc) atunci când scheletul unui copil s-a maturizat și oasele acestuia s-au oprit din creștere.

De ce a fost aprobat MACI?

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a remarcat că studiul principal a demonstrat faptul că MACI a fost superior tehnicii chirurgicale a microfracturilor în tratamentul pacienților cu defecte ale cartilajului genunchiului. În plus, pacienții tratați cu MACI au avut mai puține efecte secundare în comparație cu pacienții tratați prin metoda microfracturilor.

MACI a fost evaluat cu privire la respectarea regulamentului UE privind terapiile avansate, care impune ca toate terapiile avansate din statele membre ale UE să fie supuse unei evaluări de către EMA pentru a putea obține o autorizație de introducere pe piață valabilă pe întreg teritoriul UE. Comitetul a remarcat că tratamentele, cum este MACI, sunt deja stabilite în practica clinică și că rezultatele din studiul principal au fost în concordanță cu rezultatele din literatura de specialitate.

Prin urmare, CHMP a concluzionat că beneficiile MACI sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

Întrucât MACI este un produs pentru terapie avansată, acesta a fost evaluat inițial de către Comitetul pentru terapii avansate (CAT). Recomandarea CHMP se bazează pe o evaluare inițială a CAT.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a MACI?

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca MACI să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru MACI au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

În plus, chirurgii și personalul medical care vor fi implicați în tratamentul pacienților cu MACI vor primi materiale educaționale care cuprind orientări detaliate privind modul de utilizare al MACI, precum și informații cu privire la riscurile acestui tratament și necesitatea urmăririi pacienților tratați cu MACI.

Alte informații despre MACI

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru MACI, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 27 iunie 2013.

EPAR-ul complet pentru MACI este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu MACI, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 06-2013.