



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414372/2013
EMA/H/C/002522

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

MACI

charakterizované autológne kultivované chondrocyty nasadené na matrici

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o implantáte MACI. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila implantát s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať implantát MACI.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní implantátu MACI, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľov alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je implantát MACI a na čo sa používa?

MACI je implantát používaný na nápravu defektov chrupavky na koncoch kostí kolenného kĺbu. Pozostáva z vlastných buniek chrupavky pacienta na kolagénových membránach s plochou 14,5 cm², ktorými chirurg vyplní priestory v mieste poškodenej chrupavky.

Implantát MACI sa používa na nápravu hlbokých defektov s plochou 3 až 20 cm² u dospelých, u ktorých sa prejavujú symptómy (napríklad bolesť a problémy s pohyblivosťou kolena).

MACI je implantát na inovačnú liečbu, ktorý sa nazýva výrobok tkanivového inžinierstva. Ide o implantát obsahujúci bunky alebo tkanivá, ktoré boli upravené tak, aby sa dali použiť na opravu, regeneráciu alebo náhradu tkaniva.

Ako sa implantát MACI používa?

V prvej fáze liečby sa z kĺbu pacienta odoberie vzorka buniek chrupavky, ktorá sa potom kultivuje v laboratóriu. Bunky sa následne uložia na kolagénovú membránu. Približne o 6 týždňov chirurg vytvára membránu tak, aby zodpovedala poškodenej oblasti chrupavky kolena, a potom ju implantuje pomocou chirurgického zákroku. Na pripevnenie implantátu na správne miesto v chrupavke sa používa lepidlo známe ako fibrínové tkanivové lepidlo, ktoré sa vyrába z proteínov podieľajúcich sa na zrážaní krvi.



Implantát MACI má používať len chirurg, ktorý bol osobitne vyškolený a je kvalifikovaný v oblasti jeho používania. Implantát je len na lekárske predpis.

Akým spôsobom implantát MACI účinkuje?

Účinná látka implantátu MACI pozostáva z vlastných buniek chrupavky pacienta, ktoré sa implantujú do miesta defektu chrupavky v kolene. Bunky sa použijú na vyplnenie priestoru v mieste poškodenia chrupavky, čím dochádza k regenerácii poškodených oblastí a úľave od symptómov, ako sú bolesť a problémy s pohyblivosťou kolena.

Aké prínosy implantátu MACI boli preukázané v štúdiách?

Implantát MACI sa porovnával s mikrofraktúrou (chirurgický zákrok, ktorý sa bežne používa na liečbu defektov chrupavky) v hlavnej štúdii, v ktorej sa skúmala úľava od bolesti a zlepšenie funkcie kolena u pacientov s hlbokými defektmi chrupavky kolena. Štúdia zahŕňala 144 dospelých s defektmi s plochou od 3 do 20 cm². Na meranie bolesti a funkcie kolena sa použila štandardná stupnica známa ako „knee injury and osteoarthritis outcome score“ (KOOS - skóre výsledku poranenia kolena a osteoartritídy), na ktorej 0 znamená extrémne problémy a 100 znamená neprítomnosť problémov. V štúdii sa preukázalo, že implantát MACI je účinnejší ako mikrofraktúra, pokiaľ ide o úľavu od bolesti a zlepšenie funkcie kolena. Dva roky po chirurgickom zákroku mali pacienti liečení implantátom MACI priemerné skóre 82 pre bolesť a 61 pre funkciu kolena, kým pacienti liečení mikrofraktúrou mali skóre 71 pre bolesť a 49 pre funkciu kolena. U pacientov liečených implantátom MACI sa pozorovalo zlepšenie približne o 45 bodov z hľadiska bolesti i funkcie, kým u pacientov, ktorí absolvovali mikrofraktúru, sa zistilo zlepšenie približne o 35 bodov.

Aké riziká sa spájajú s používaním implantátu MACI?

U 1 až 10 pacientov z 1 000 pacientov liečených implantátom MACI môže dôjsť k nadmernému rastu chrupavky a uvoľneniu implantátu. Medzi ďalšie významné riziká patria riziká spojené so samotným chirurgickým zákrokom vrátane infekcie, zápalu, hemartrózy (krv v kĺboch), artrofibrózy (jazvovité tkanivo v kĺboch) a tromboembolických príhod (krvné zrazeniny). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní implantátu MACI sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Implantát MACI sa nesmie používať u pacientov so závažnou osteoartrítidou (opuch a bolesť) kolena, zápalovým ochorením kĺbov alebo neliečenými vrodenými poruchami zrážania krvi. Implantát MACI sa takisto nesmie používať u pacientov, ktorí nemajú úplne uzavreté rastové platničky v stehennej kosti. Rastové platničky sa uzatvárajú (alebo tvrdnú), keď má dieťa zrelú kosť a jeho kosti prestanú rásť.

Prečo bol implantát MACI povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry konštatoval, že v hlavnej štúdii sa preukázalo, že pri liečbe pacientov s defektmi chrupavky kolena použitie implantátu MACI prinieslo lepšie výsledky ako mikrofraktúra. U pacientov liečených implantátom MACI sa navyše vyskytlo menej vedľajších účinkov ako u pacientov liečených mikrofraktúrou.

V prípade implantátu MACI sa hodnotilo, či vyhovuje požiadavkám nariadenia EÚ o liekoch na inováčnu liečbu, ktoré vyžaduje, aby agentúra EMA preskúmala všetky inováčné lieky v členských štátoch EÚ a mohli tak získať povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ. Výbor konštatoval, že lieky, ako je napríklad implantát MACI, sa už bežne používajú v klinickej praxi a že výsledky z hlavnej štúdie zodpovedali výsledkom uvedeným vo vedeckej literatúre.

Výbor CHMP preto dospel k záveru, že prínosy implantátu MACI sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním, a odporučil povoliť jeho používanie v EÚ.

Keďže implantát MACI je liek na inovačnú liečbu, najprv ho posudzoval Výbor pre inovačnú liečbu (CAT). Odporúčanie výboru CHMP vychádza z pôvodného posúdenia výboru CAT.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie implantátu MACI?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania implantátu MACI bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľov zahrnuté informácie o bezpečnosti implantátu MACI vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Chirurgovia a zdravotnícki pracovníci, ktorí sa budú podieľať na liečbe pacientov implantátom MACI, navyše dostanú vzdelávacie materiály s podrobnými usmerneniami o tom, ako používať implantát MACI, ako aj s informáciami o jeho rizikách a potrebe vykonávania kontrol pacientov liečených implantátom MACI.

Ďalšie informácie o implantáte MACI

Európska komisia dňa 27. júna 2013 vydala povolenie na uvedenie implantátu MACI na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o implantáte MACI sa nachádza na webovej stránke agentúry:

[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe implantátom MACI, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 06-2013