



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/6865/2015
EMA/H/C/002450

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Holoclar

Őssejteket tartalmazó, *ex vivo* tenyésztett, autológ, humán corneális epitheliumsejtek

Ez a dokumentum a Holoclar-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Holoclar alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Holoclar alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Holoclar és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Holoclar a szemben alkalmazott, a szaruhártya – a szem elülső részében a szivárványhártyát (a színes részt) fedő áttetsző réteg – felszínén (epithelium) lévő sérült sejtek pótlására szolgáló őssejt-kezelés.

A szem égési sérülése (pl. kémiai égése) által okozott közép súlyos vagy súlyos limbális őssejthiányban szenvedő felnőtt betegeknél alkalmazzák. Az ilyen betegségben szenvedő betegek nem rendelkeznek elegendő limbális őssejttel, amely sejtek általában regenerációs rendszerként hatnak, kipótolva a szaruhártya külső sejtjeit azok sérülésekor vagy elöregedésekor.

A Holoclar a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „módosított szövet alapú készítménynek” neveznek. Ez a beteg limbusából (a szaruhártya szélén) nyert sejtekből áll, amelyeket ezután laboratóriumban szaporítanak abból a célból, hogy felhasználhatók legyenek a szaruhártya sérült felszínének kijavítására.



Mivel a szem égési sérülése által okozott limbális őssejthiányban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Holoclar-t 2008. november 7-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

Hogyan kell alkalmazni a Holoclar-t?

A Holoclar-t csak megfelelően képzett és erre jogosult szemsebész alkalmazhatja, kórházi körülmények között, és csak azoknak a betegeknek adható, akiknek a limbális sejtjeit a gyógyszer előállításához felhasználták.

A kezelés első szakaszában a kórházban kinyerik az egészséges limbális szövet egy kis (1–2 mm² méretű) részét a betegből, és ezt ugyanazon a napon elküldik a gyártónak. Ezután a szövet sejtjeit laboratóriumban szaporítják, és lefagyasztva tárolják, amíg a műtét dátumát jóvá nem hagyják. A kiolvasztott sejteket a fibrin nevű proteinekből készült membránon történő szaporításukkal használják a Holoclar elkészítéséhez. A sejtekből és a membránból álló Holoclar-t ezután visszaküldik a kórházba, ahol azt műtéti úton azonnal beültetik a beteg szemébe.

Miután a betegből limbális szövetet nyertek, a szemfertőzés megakadályozására antibiotikumokat kell alkalmazni. A műtétet követően a betegnek antibiotikumokat és megfelelő gyulladásgátló gyógyszert kell kapnia.

A Holoclar egyszeri kezelésre szolgál, bár – ha az orvos szükségesnek látja – a kezelés megismételhető. További információ a (szintén az EPAR részét képező) alkalmazási előírásban található.

Hogyan fejti ki hatását a Holoclar?

A Holoclar hatóanyagát a beteg saját limbális sejtjei képezik, amelyek tartalmazzák a szaruhártya felszínéről származó sejteket és a laboratóriumban szaporított limbális őssejteket. A Holoclar alkalmazása előtt az érintett szem szaruhártyájának sérült felszíni szövetét eltávolítják. A szembe történő beültetés után a Holoclar corneális sejtjei elősegítik a szaruhártya felszínének pótlását, míg a limbális őssejtek a szaruhártyát folyamatosan pótló új sejtek tartalékként szolgálnak.

Milyen előnyei voltak a Holoclar alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy, a betegek kórelőzményeit felhasználó retrospektív vizsgálatban a Holoclar hatékonynak bizonyult égési sérülések által okozott középsúlyos vagy súlyos limbális őssejthiányban szenvedő betegek szaruhártyája stabil felszínének a helyreállításában. Egy évvel a Holoclar beültetését követően a 104 vizsgált beteg közül 75-nél (72%) a stabil – felszíni sérülésektől mentes, kevés benőtt érrel rendelkező (a limbális őssejthiány általános jellemzője) vagy azok nélküli – corneális felszín megléte alapján a beültetést sikeresnek ítélték meg. A betegek tünetei – például a fájdalom és a gyulladás – terén is csökkenés mutatkozott, valamint a látás javulása is megfigyelhető volt.

Milyen kockázatokkal jár a Holoclar alkalmazása?

A Holoclar leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) a blefaritisz (szemhéjgyulladás). Az összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Holoclar forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) arra a következtetésre jutott, hogy a Holoclar hatékony égési sérülések által okozott középsúlyos vagy súlyos limbális őssejthiányban szenvedő betegek szaruhártyája egészséges felszínének a helyreállításában, valamint tüneteik és látásuk javításában. A bizottság megállapította, hogy a középsúlyos vagy súlyos limbális őssejthiány súlyos betegség, amely, ha nem kezelik, a látás súlyos mértékű csökkenéséhez vagy teljes elvesztéséhez vezethet. Mivel a Holoclar-kezelés mellékhatásai általában kezelhetők, a CHMP megállapította, hogy a Holoclar alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

A Holoclar előny-kockázat profiljára vonatkozó következtetés két (kórelőzményeket felhasználó) retrospektív vizsgálat eredményein alapul, és a vállalat köteles további adatokat biztosítani egy retrospektív vizsgálatból (amelyben feljegyzik a vizsgálat során kapott eredményeket).

A Holoclar-t ezért „feltételes jóváhagyással” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyek benyújtására kötelezték a vállalatot. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

Milyen információk várhatók még a Holoclar-ral kapcsolatban?

Mivel a Holoclar forgalomba hozatalát feltételes jóváhagyással engedélyezték, a Holoclar-t forgalmazó vállalat a Holoclar-ról további adatokat fog benyújtani. A vállalat köteles egy prospektív klinikai vizsgálatból adatokat biztosítani a Holoclar előnyeiről és kockázatairól.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Holoclar biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Holoclar lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Holoclar-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

A Holoclar-t gyártó vállalat ezenkívül oktatóanyagot fog biztosítani az egészségügyi szakemberek számára a kezelés biztonságos alkalmazásáról, többek között a betegek kiválasztására és utánkövetésére, valamint a mellékhatások bejelentésére vonatkozóan. A kezelésben részesülő betegek szintén oktatóanyagot fognak kapni.

További információ a [kockázatkezelési terv összefoglalójában](#) található.

A Holoclar-ral kapcsolatos egyéb információ

2015. február 17-én az Európai Bizottság a Holoclar-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Holoclar-ra vonatkozó teljes EPAR és kockázatkezelési terv összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Amennyiben a Holoclar-ral történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Holoclar-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 02-2015.