



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Holoclar

Ċelluli awtologi tal-epitelju tal-kornea umana mkabbra *ex vivo* li fihom ċelluli staminali

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Holoclar. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-mediċina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tiegħu fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tiegħu. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Holoclar.

Għal informazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Holoclar, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew spizjar tagħhom.

X'inhu Holoclar u għal xiex jintuża?

Holoclar huwa kura biċ-ċelloli staminali li jintuża fl-għajnejn biex jiġi sostitwit biċ-ċelloli bil-ħsara fuq is-superfiċje (epitelju) tal-kornea, is-saff trasparenti fuq quddiem tal-għajnejn li jkisi l-iris (il-parti kkulurita).

Jintuża f'pazjenti adulti b'nuqqas moderat sa sever ta' ċelloli staminali limbali ikkawżat minn ħruq, inkluż ħruq kimiku, fl-għajnejn. Pazjenti b'din il-kundizzjoni m'għandhomx biżżejjed ċelloli staminali limbali li normalment jaġixxu bħala sistema ta' riġenerazzjoni, billi jirrikostitwixxu ċ-ċelloli korneali ta' barra meta ssirilhom il-ħsara jew jimaturaw.

Holoclar huwa tip ta' prodott ta' terapija avvanzata imsejha 'prodott tal-ingerija tat-tessuti'. Jikkonsisti minn ċelloli meħudin mil-limbus (it-tarf tal-kornea) tal-pazjent li mbagħad jiġi mkabbra fil-laboratorju sabiex ikunu jistgħu jintużaw biex tisewwa ħsara fis-superfiċje korneali bil-ħsara.

Peress li n-numru ta' pazjenti li jbatu minn nuqqas ta' ċelloli staminali limbali minħabba ħruq fl-għajnejn huwa baxx, il-marda hija kkunsidrata 'rari', u Holoclar ġie kklassifikat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fis-7 ta' Novembru 2008.



Kif jintuża Holoclar?

Holoclar għandu jintuża biss minn kirurgu tal-għajnejn ikkwalifikat u mħarreġ b'mod xieraq fi sptar, u għandu jingħata biss lill-pazjent li ċ-ċelloli limbali tiegħu ntużaw biex tiġi mmanifatturata l-medicina.

Fl-ewwel stadju tal-kura, parti żgħira mit-tessut limbali b'saħħtu (1–2 mm² fid-daqs) tittiehed mill-pazjent fl-isptar u tintbagħat lill-manifattur fl-istess ġurnata. Imbagħad, iċ-ċelloli fit-tessut jiġu mkabbra f'laboratorju u jiġu ffrizati sakemm tiġi kkonfermata id-data tal-operazzjoni. Ċelloli li jinżlu wara li jkunu ġew iffriżati jintużaw biex isir Holoclar billi jiġu mkabbra fuq membrana magħmula minn proteina msejja fibrin. Holoclar, magħmul miċ-ċelloli u l-membrana, imbagħad jintbagħat lill-isptar, fejn jiġi impjantat mill-ewwel kirurġikament fl-għajn tal-pazjent.

Għandhom jingħataw antibijotiċi li jipprevjenu infezzjoni tal-għajn lill-pazjenti wara li jittehdilhom tessut limbali. Wara l-operazzjoni, il-pazjent għandu jirċievi antibijotiċi u medicina anti-infjammatorja xierqa.

Holoclar huwa ntiż għal kura ta' darba, għalkemm il-kura tista' tiġi ripetuta jekk it-tabib jikkunsidraha neċessarja. Għal iktar informazzjoni, ara s-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott (ukoll parti minn dan l-EPAR).

Kif jaħdem Holoclar?

Is-sustanza attiva f'Holoclar huma ċ-ċelloli limbali tal-pazjent stess, li jinkludu ċelloli mis-superfiċje tal-kornea u ċelloli staminali limbali mkabbra f'laboratorju. Qabel jintuża Holoclar, jitneħħa t-tessut tas-superfiċje korneali bil-ħsara tal-għajn affetwata. Meta jiġu impjantati fl-għajn, iċ-ċelloli korneali ta' Holoclar jgħinu biex jissostitwixxu s-superfiċje korneali, filwaqt li ċ-ċelloli staminali limbali iservu bħala riżerva ta' ċelloli ġodda sabiex il-kornea tiġi rikostitwita b'mod kontinwu.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Holoclar li ħarġu mill-istudji?

Holoclar intwera li huwa effettiv fir-restawr ta' superfiċje korneali stabbli f'pazjenti b'nuqqas ta' ċelloli staminali limbali moderat sa sever ikkawżat minn ħruq fi studju retrospettiv bl-użu ta' rekords mediċi tal-passat tal-pazjenti. Sena wara l-impjantazzjoni b'Holoclar, 75 minn 104 pazjenti studjati (72%) tqiesu li kellhom impjant li rnexxa abbażi tal-preżenza ta' superfiċje korneali stabbli mingħajr difetti fis-superfiċje u ftit jew ebda vini jikbru 'l ġewwa (karatteristika komuni ta' nuqqas ta' ċelloli staminali limbali). Kien hemm ukoll tnaqqis fis-sintomi tal-pazjenti, bħal uġiġh u infjammazzjoni, u titjib fil-viżta.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Holoclar?

L-effett sekondarju l-aktar komuni b'Holoclar (li jista' jaffettwa aktar minn persuna 1 minn kull 10) huwa blefarite (infjammazzjoni tal-kappell tal-għajnejn). Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u restrizzjonijiet kollha, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex ġie approvat Holoclar?

Il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) tal-Aġenzija kkonkluda li l-kura b'Holoclar kienet effettiva fir-restawr tal-uċuh korneali b'saħħithom f'pazjenti b'nuqqas ta' ċelloli staminali limbali moderat sa sever ikkawżat minn ħruq kif ukoll fit-titjib tas-sintomi u tal-viżta tagħhom. Il-Kumitat innota li forom moderati sa severi ta' nuqqas ta' ċelloli staminali limbali huma kundizzjonijiet serji li, jekk ma jiġux ikkurati, jistgħu iwasslu għal tnaqqis sever jew telf totali tal-viżta. Minħabba li l-effetti sekondarji tal-kura b'Holoclar huma ġeneralment maniġġevoli, is-CHMP ikkonkluda li l-benefiċċji ta' Holoclar jегħlbu r-riskji tiegħu u rakkomanda li jkun approvat għall-użu fl-UE.

Il-konklużjoni dwar il-bilanċ benefiċċju-riskju ta' Holoclar huwa bbażat fuq riżultati minn żewġ studji retrospettivi (bl-użu ta' rekords mediċi tal-passat), u l-kumpanija ser tipprovdi iktar dejta minn studju prospettiv (li jirrekordja riżultati waqt l-istudju).

Holoclar għalhekk ingħata 'approvazzjoni kondizzjonali'. Dan ifisser li għad hemm iktar evidenza x'tingħata dwar il-mediċina, li l-kumpanija hija mitluba tipprovdi. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini se tirrevedi kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u dan is-sommarju se jjer jiġi aġġornat kif meħtieġ.

Liema informazzjoni għadha mistennija għal Holoclar?

Minħabba li Holoclar ingħata approvazzjoni kondizzjonali, il-kumpanija li tqiegħed Holoclar fis-suq se tipprovdi iktar dejta dwar Holoclar. Il-kumpanija ser tipprovdi dejta fuq il-benefiċċji u r-riskji ta' Holoclar minn studju kliniku prospettiv.

X'miżuri qegħdin jittehdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Holoclar?

Ġie żviluppat pjan ta' ġestjoni tar-riskju biex jiġi żgurat li Holoclar jintuza bl-aktar mod sigur possibbli. Abbażi ta' dan il-pjan, fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u l-fuljett ta' tagħrif ġiet inkluża informazzjoni rigward is-sigurtà ta' Holoclar, inklużi l-prekawzjonijiet xierqa li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti tal-kura tas-saħħa u l-pazjenti.

Barra minn hekk, il-kumpanija li tagħmel Holoclar ser tipprovdi lill-professjonisti tal-kura tas-saħħa b'materjal edukattiv dwar l-użu sigur ta' din il-kura, inkluż dwar l-għażla u follow-up ta' pazjenti u dwar ir-rapportar ta' effetti sekondarji. Ser jiġi pprovdut ukoll materjal edukattiv lil pazjenti li jkunu qed jingħataw kura.

Aktar informazzjoni tinstab fis-[s-sommarju tal-pjan tal-ġestjoni tar-riskju](#).

Informazzjoni oħra dwar Holoclar

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqiegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Holoclar fis-17 ta' Frar 2015.

L-EPAR sħiħ u s-sommarju tal-pjan tal-ġestjoni tar-riskju għal Holoclar jinstabu fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Holoclar, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew spizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Holoclar jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dan is-sommarju ġie aġġornat l-aħħar fi 02-2015.