



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Holoclar

uzyskane w wyniku ekspansji *ex vivo* autologiczne ludzkie komórki nabłonka rogówki, zawierające komórki macierzyste

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Holoclar. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Holoclar.

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

Co to jest Holoclar i w jakim celu się go stosuje?

Produkt Holoclar to lek zawierający komórki macierzyste, stosowany w oku w celu zastąpienia uszkodzonych komórek powierzchni (nabłonka) rogówki, przezroczystej warstwy przedniej oka pokrywającej tęczówkę (barwną część oka).

Jest on stosowany u dorosłych pacjentów z niedoborem komórek macierzystych rąbka rogówki o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego spowodowanym oparzeniami oka, w tym chemicznymi. Pacjenci z tą dolegliwością nie mają wystarczającej liczby komórek macierzystych rąbka rogówki, które normalnie działają jak system regeneracyjny, uzupełniający komórki wierzchniej warstwy rogówki w przypadku ich uszkodzenia i starzenia się.

Produkt Holoclar jest rodzajem leku do zaawansowanego leczenia, zwanym „produktem inżynierii tkankowej”. Składa się on z komórek pobranych z rąbka rogówki pacjenta (z brzegu rogówki), które są następnie namnażane w laboratorium w celu naprawy uszkodzonej powierzchni rogówki.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z niedoborem komórek macierzystych rąbka rogówki wywołanym oparzeniami oka choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 7 listopada 2008 r. produkt Holoclar uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).



Jak stosować produkt Holoclar?

Lek Holoclar powinien być podawany wyłącznie przez przeszkolonego i wykwalifikowanego chirurga okulistę w warunkach szpitalnych i wyłącznie pacjentom, których komórki rąbka rogówki wykorzystano do produkcji leku.

W pierwszej fazie leczenia od pacjenta w warunkach szpitalnych pobiera się niewielką część zdrowej tkanki rąbka rogówki (o powierzchni 1–2 mm²), która tego samego dnia jest przesyłana do producenta leku. Następnie komórki pobranej tkanki zostają namnożone w laboratorium i zamrożone do czasu potwierdzenia daty zabiegu. Rozmrożone komórki wykorzystuje się do produkcji leku Holoclar poprzez ich namnożenie na błonie złożonej z białka zwanego fibryną. Produkt Holoclar składający się z komórek i błony jest następnie odsyłany do szpitala, gdzie zostaje natychmiast wszczepiony chirurgicznie w oko pacjenta.

Po pobraniu od pacjenta tkanki rąbka rogówki należy podać mu antybiotyki w celu ochrony oka przed zakażeniem. Po zabiegu pacjent powinien otrzymać antybiotyki i odpowiedni lek przeciwzapalny.

Lek Holoclar jest przeznaczony do jednorazowego leczenia, jednakże leczenie można powtórzyć, jeśli lekarz uzna to za konieczne. Więcej informacji znajduje się w charakterystyce produktu leczniczego (także części EPAR).

Jak działa produkt Holoclar?

Substancją czynną leku Holoclar są własne komórki rąbka rogówki pacjenta, które obejmują komórki z powierzchni rogówki i komórki macierzyste rąbka namnożone w laboratorium. Przed zastosowaniem leku Holoclar uszkodzona tkanka powierzchniowa rogówki chorego oka zostaje usunięta. Po implantacji w oko komórki rogówki zawarte w produkcie Holoclar pomagają odbudować powierzchnię rogówki, a komórki macierzyste rąbka rogówki stanowią zapas nowych komórek, które stale uzupełniają rogówkę.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Holoclar zaobserwowano w badaniach?

W badaniu retrospektywnym z wykorzystaniem historii dokumentacji medycznej pacjenta wykazano skuteczność produktu Holoclar w odbudowywaniu stabilnej powierzchni rogówki u pacjentów z niedoborem komórek macierzystych rąbka rogówki o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego spowodowanym oparzeniami. Rok po wszczęciu produktu Holoclar u 75 ze 104 badanych pacjentów (72%) zabieg oceniono jako udany w oparciu o obecność stabilnej powierzchni rogówki, z brakiem uszkodzeń oraz brakiem lub niewielką liczbą wrosniętych naczyń krwionośnych (cecha często występująca w przypadku niedoboru komórek macierzystych rąbka rogówki). Wystąpiło również zmniejszenie nasilenia objawów, takich jak ból i stan zapalny, oraz poprawa wzroku.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Holoclar?

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem produktu Holoclar (obserwowane u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to zapalenie powiek. Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Holoclar?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że leczenie produktem Holoclar było skuteczne w odbudowywaniu zdrowych powierzchni rogówki u pacjentów z niedoborem komórek macierzystych rąbka rogówki o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego spowodowanym

oparzeniami oraz w łagodzeniu objawów i poprawie wzroku. Komitet zauważył, że niedobór komórek macierzystych rąbka rogówki o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego to poważne schorzenie, które, jeśli nieleczone, może prowadzić do poważnego pogorszenia lub całkowitej utraty wzroku. Ponieważ działania niepożądane związane ze stosowaniem produktu Holoclar są zasadniczo możliwe do kontrolowania, CHMP uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Holoclar przewyższają ryzyko i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE.

Wnioski dotyczące stosunku korzyści do ryzyka stosowania produktu Holoclar oparto na wynikach dwóch badań retrospektywnych (z użyciem historii dokumentacji medycznej). Firma jest zobowiązana do przedłożenia dalszych danych z badania prospektywnego (w którym zapisuje się wyniki w czasie trwania badania).

W związku z tym produkt Holoclar został warunkowo dopuszczony do obrotu. Oznacza to, że będą gromadzone dodatkowe informacje na temat tego leku, które firma ma obowiązek dostarczyć. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze sprawozdanie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Holoclar?

W związku z tym, że produkt Holoclar został warunkowo dopuszczony do obrotu, firma wprowadzająca produkt Holoclar do obrotu dostarczy dalsze dane dotyczące tego produktu. Firma jest zobowiązana do dostarczenia danych dotyczących korzyści i ryzyka stosowania produktu Holoclar, pochodzących z prospektywnego badania klinicznego.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Holoclar?

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

Dodatkowo firma wytwarzająca produkt Holoclar dostarczy personelowi medycznemu materiały edukacyjne dotyczące bezpiecznego stosowania leku, w tym wyboru i kontroli okresowej pacjentów oraz zgłoszeń dotyczących działań niepożądanych. Materiały edukacyjne zostaną również przekazane pacjentom poddawany leczeniu.

Więcej informacji znajduje się w [streszczeniu planu zarządzania ryzykiem](#).

Inne informacje dotyczące produktu Holoclar:

W dniu 17 lutego 2015 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Holoclar do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR i streszczenie planu zarządzania ryzykiem dotyczące produktu Holoclar znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Holoclar należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Holoclar znajduje się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare/disease_designation.

Data ostatniej aktualizacji: 02.2015.