



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Holoclar

ex vivo ekspandiran avtologen humani roženični epitelij, ki vsebuje matične celice

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Holoclar. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Holoclar naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Holoclar in za kaj se uporablja?

Zdravilo Holoclar vsebuje matične celice in se uporablja v očesu za nadomestitev poškodovanih celic na površini (epiteliju) roženice, tj. prozorne plasti v sprednjem delu očesa, ki prekriva šarenico (obarvani del).

Uporablja se pri odraslih bolnikih z zmernim do hudim pomanjkanjem limbusnih matičnih celic zaradi opekline očesa, vključno s kemično opeklino. Bolniki s to okvaro nimajo dovolj limbusnih matičnih celic, ki običajno delujejo kot regeneracijski sistem in nadomeščajo zunanje roženične celice, ko se te poškodujejo in ko se starajo.

Zdravilo Holoclar spada v skupino zdravil za napredno zdravljenje, ki se imenujejo „zdravila, izdelana s tkivnim inženirstvom“. Vsebuje celice, ki se odvzamejo iz bolnikovega limbusa (na robu roženice) in se nato vzgojijo v laboratoriju, da bi jih lahko uporabili za popravilo poškodovane površine roženice.

Ker je bolnikov s pomanjkanjem limbusnih matičnih celic zaradi opekline očesa malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Holoclar 7. novembra 2008 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).



Kako se zdravilo Holoclar uporablja?

Zdravilo Holoclar lahko uporablja le ustrezno izšolan in usposobljen očesni kirurg v bolnišnici, daje pa se lahko le tistemu bolniku, katerega limbusne celice so bile uporabljene za izdelavo zdravila.

V prvi fazi zdravljenja se bolniku v bolnišnici odvzame delček zdravega limbusnega tkiva (velikosti 1–2 mm²), ki se še isti dan pošlje proizvajalcu. Celice v tkivu se nato vzgojijo v laboratoriju in zamrznejo do potrjenega datuma kirurškega posega. Odtaljene celice se uporabijo za izdelavo zdravila Holoclar, tako da se vzgojijo na membrani iz beljakovine, imenovane fibrin. Zdravilo Holoclar, ki je sestavljeno iz celic in membrane, se nato pošlje nazaj v bolnišnico, kjer se nemudoma kirurško vsadi v bolnikovo oko.

Po odstranitvi limbusnega tkiva je treba bolniku dajati antibiotike, da se prepreči okužba očesa. Po kirurškem posegu je treba bolniku dajati antibiotike in ustrezno protivnetno zdravilo.

Zdravilo Holoclar je namenjeno za enkratno zdravljenje, ki pa ga je mogoče ponoviti, če zdravnik presodi, da je to potrebno. Za več informacij glejte povzetek glavnih značilnosti zdravila (ki je prav tako del EPAR).

Kako zdravilo Holoclar deluje?

Zdravilna učinkovina zdravila Holoclar so bolnikove lastne limbusne celice, ki vključujejo celice s površine roženice in limbusne matične celice, vzgojene v laboratoriju. Pred uporabo zdravila Holoclar se iz očesa odstrani poškodovano tkivo na površini roženice. Ko se vsadijo v oko, roženične celice v zdravilu Holoclar pomagajo nadomestiti površino roženice, medtem ko limbusne matične celice služijo kot rezervoar za nove celice, ki nenehno obnavljajo roženico.

Kakšne koristi je zdravilo Holoclar izkazalo v študijah?

Zdravilo Holoclar se je v retrospektivni študiji, v kateri so uporabili zdravniške izvide bolnikov iz preteklosti, izkazalo za učinkovito pri ponovnem vzpostavljanju stabilne površine roženice pri bolnikih z zmernim ali hudim pomanjkanjem limbusnih matičnih celic zaradi opekline. Eno leto po vsaditvi zdravila Holoclar se bili vsadki ocenjeni kot uspešni pri 75 od 104 (72 %) bolnikov, ki so bili obravnavani v študiji, merilo učinkovitosti pa je bil obstoj stabilne površine roženice brez okvar na površini in malo ali nič vraščenih krvnih žil (pogosta značilnost pomanjkanja limbusnih matičnih celic). Poleg tega so pri bolnikih opazili ublažitev simptomov, kot sta bolečina in vnetje, ter izboljšanje vida.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Holoclar?

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Holoclar (ki lahko prizadene več kot 1 osebo od 10) je blefaritis (vnetje očesne veke). Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Holoclar odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da je bilo zdravilo Holoclar učinkovito pri ponovni vzpostavitvi zdrave površine roženice pri bolnikih z zmernim ali hudim pomanjkanjem limbusnih matičnih celic zaradi opekline ter pri izboljšanju njihovih simptomov in vida. Odbor je opozoril, da so zmerne do hude oblike pomanjkanja limbusnih matičnih celic hude okvare, ki lahko, če se ne zdravijo, privedejo do hudega zmanjšanja ali popolne izgube vida. Ker so neželeni učinki zdravila Holoclar na splošno obvladljivi, je CHMP zaključil, da so koristi zdravila Holoclar večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU.

Opredelitev razmerja med koristmi in tveganji pri zdravilu Holoclar temelji na rezultatih dveh retrospektivnih študij (ob uporabi zdravniških izvidov iz preteklosti), družba pa mora zagotoviti nadaljnje podatke iz prospektivne študije (pri kateri se beležijo rezultati tekom študije).

Zdravilo Holoclar je zato pridobilo „pogojno dovoljenje za promet“. To pomeni, da se pričakujejo dodatni dokazi o zdravilu, ki jih mora zagotoviti družba. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in posodobila povzetek glavnih značilnosti zdravila, če bo potrebno.

Katere informacije o zdravilu Holoclar še pričakujemo?

Ker je zdravilo Holoclar pridobilo pogojno dovoljenje za promet, bo družba, ki ga trži, zagotovila nadaljnje podatke o tem zdravilu. Družba mora zagotoviti podatke o koristih in tveganjih zdravila Holoclar iz prospektivne klinične študije.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Holoclar?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Holoclar je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila Holoclar in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Poleg tega bo družba, ki izdeluje zdravilo Holoclar, zdravstvenim delavcem priskrbelo izobraževalno gradivo o varni uporabi tega zdravila, ki bo vključevalo tudi informacije o izbiri in spremljanju bolnikov ter o poročanju o neželenih učinkih. Izobraževalno gradivo bodo prejeli tudi bolniki, ki bodo zdravljeni z zdravilom Holoclar.

Dodatne informacije so na voljo v [povzetku načrta obvladovanja tveganj](#).

Druge informacije o zdravilu Holoclar

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Holoclar, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 17. februarja 2015.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) in povzetek načrta obvladovanja tveganj za zdravilo Holoclar sta na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports. Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Holoclar preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Holoclar je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare_disease_designation.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 02-2015.