



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21. února 2013
EMA/52320/2013
EMA/H/C/002657

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci autoštěpu Hyalograft C (charakterizované životaschopné autologní chondrocyty množené *in vitro*, uložené a kultivované na nosné struktuře na bázi hyaluronanu)

Dne 14. ledna 2013 společnost Anika Therapeutics S.r.l. oficiálně oznámila Evropské agentuře pro léčivé přípravky, že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci autoštěpu Hyalograft C pro opravu defektů chrupavky na femorálních kondylech a trochlei (na konci stehenní kosti, který tvoří část kolene) způsobených náhlým nebo opakovaným traumatem.

Co je autoštěp Hyalograft C?

Autoštěp Hyalograft C je implantát sestávající z buněk chrupavky pocházejících z těla pacienta a pěstovaných na čtvercových vložkách o velikosti 2x2 cm.

Autoštěp Hyalograft C je typem přípravku pro moderní terapii nazývaným „přípravek tkáňového inženýrství“. Jedná se o druh léčivého přípravku, který obsahuje buňky či tkáň upravené tak, aby je bylo možné použít k opravě, obnově nebo nahrazení tkání. Autoštěp Hyalograft C je „kombinovaným přípravkem pro moderní terapii“, protože obsahuje zdravotnický prostředek (nosnou strukturu).

Proč byl autoštěp Hyalograft C hodnocen?

Autoštěp Hyalograft C byl hodnocen z hlediska použití v rámci opravy defektů chrupavky na konci femuru (stehenní kosti), kde kost vytváří část kolenního kloubu. Používá se u dospělých, u kterých se objevují symptomy způsobené náhlým nebo opakovaným traumatem chrupavky.

Autoštěp Hyalograft C se před přijetím nařízení EU o moderních terapiích v roce 2009 používal v následujících zemích EU: v Bulharsku, České republice, Itálii, Litvě, Maďarsku, Německu, Polsku,



Rakousku, Rumunsku a Řecku.¹ Podle tohoto nařízení musejí moderní terapie, které jsou již v rámci EU k dispozici, projít hodnocením agenturou EMA, aby získaly registraci platnou v celé EU.

Jak autoštěp Hyalograft C působí?

Autoštěp Hyalograft C je vyroben z chondrocytů (chrupavčitých buněk) odebraných pacientovi a pěstovaných mimo jeho tělo. Buňky jsou poté nasazeny na čtvercové vložky, které chirurg používá k výplni prostorů na kosti, kde byla chrupavka poškozena.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Stěžejní údaje předložené společností pocházely ze dvou publikovaných studií zahrnujících 126 pacientů s defekty femorální chrupavky, které srovnávaly autoštěp Hyalograft C s chirurgickou technikou známou jako reparace mikrofraktur. Hlavní ukazatele účinnosti byly založeny na hodnocení chrupavky pacientů a funkce kolene po léčbě.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Posuzování přípravků pro moderní terapii zahrnuje před vydáním rozhodnutí Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP) i posouzení Výborem pro moderní terapie (CAT).

Tato žádost byla stažena poté, co výbor CAT posoudil výchozí dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznam otázek. V době stažení žádosti nebyly tyto otázky výboru CAT společností ještě zodpovězeny.

Jaké bylo doporučení výboru CAT v dané době?

V době stažení žádosti výbor CAT nevydal své konečné doporučení, ale měl určité pochybnosti týkající se údajů předložených v rámci této žádosti. Některé z pochybností souvisely s výrobním postupem. Objevily se také otázky ohledně způsobu provádění hlavních studií, které se týkaly například skutečnosti, že pacienti nebyli do každé léčebné skupiny vybíráni náhodně, což vyvolalo nejistotu ohledně způsobu interpretace výsledků.

Celkově výsledky studií u pacientů neopodstatňují navrhované použití přípravku a z údajů, které byly dosud předloženy, nelze jednoznačně posoudit jeho bezpečnost. Od společnosti se také očekávaly další údaje týkající se přínosů a bezpečnosti.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Ve svém dopise, kterým uvědomuje agenturu o stažení žádosti, společnost uvedla, že rozhodnutí stáhnout žádost bylo založeno na výsledku předběžného hodnocení výboru CAT.

Dopis ohledně stažení žádosti je k dispozici [zde](#).

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty?

Po stažení žádosti nebude autoštěp Hyalograft C již k dispozici a lékaři budou muset u pacientů s defekty femorální chrupavky zvážit jiné léčebné možnosti.

¹ Nařízení (ES) č. 1394/2007

Společnost informovala agenturu EMA, že v době stažení žádosti neprobíhají žádné klinické studie ani programy, v nichž by byl autoštěp Hyalograft C podáván v rámci léčby z humánních důvodů.

Pacienti, kteří mají jakékoli otázky, by se měli obrátit na svého lékaře.