



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Hyalograft C -omakudossiirre (karakterisoidut elinkykyiset in vitro -laajennetut autologiset rustosolut, jotka on istutettu hyaluronaanipohjaiseen tukimateriaaliin ja viljelty siinä) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Anika Therapeutics S.r.l. ilmoitti 14. tammikuuta 2013 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa reisiluun nivelnastojen ja troklean (reisiluun pää, joka muodostaa osan polvesta) rustovaurioiden hoitoon tarkoitettua Hyalograft C -omakudossiirrevalmistettä koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Hyalograft C -omakudossiirre on?

Hyalograft C -omakudossiirre on implantti, joka koostuu potilaalta peräisin olevista rustosoluista, jotka on istutettu 2 x 2 neliösenttimetrin kokosiin paloihin.

Hyalograft C -omakudossiirre on pitkälle kehityksessä hoidoissa käytettävä kudosuokkausvalmiste. Tämyntyyppiset lääkevalmisteet sisältävät soluja tai kudosta, joita on käsitelty niin, että niitä voidaan käyttää kudoksen korjaamiseen, uudistamiseen tai korvaamiseen. Hyalograft C -omakudossiirre on pitkälle kehityksessä hoidoissa käytettävä yhdistelmä lääke, joka sisältää myös lääkinnällisen laitteen (tukimateriaalin).

Miksi Hyalograft C -omakudossiirrettä arvioitiin?

Hyalograft C -omakudossiirrevalmisteen osalta arvioitiin sen käyttöä reisiluun päässä (jossa luu muodostaa osan polviniveltä) olevien rustovaurioiden korjaamisessa. Sillä oli määrä hoitaa aikuisia, joilla oli äkillisen tai toistuvan rustovaurion oireita.



Ennen kuin pitkälle kehitetyissä hoidoissa käytettävistä lääkkeistä annettu EU-asetus tuli voimaan vuonna 2009, Hyalograft C -omakudossiirrevalmistetta oli käytetty seuraavissa EU:n jäsenvaltioissa: Bulgaria, Italia, Itävalta, Kreikka, Liettua, Puola, Romania, Saksa, Tšekki ja Unkari.¹ Asetuksen nojalla Euroopan lääkeviraston on arvioitava EU:ssa jo saatavilla olevat pitkälle kehitetyt hoidot, jotta niille voitaisiin myöntää EU:n laajuinen myyntilupa.

Miten Hyalograft C -omakudossiirre vaikuttaa?

Hyalograft C -omakudossiirre on valmistettu kondrosyyteistä eli rustosoluista, jotka on otettu potilaalta ja kasvatettu kehon ulkopuolella. Sen jälkeen solut on istutettu neliömäisiin paloihin, joilla kirurgi täyttää luussa olevat reiät niissä kohdissa, joissa rusto on vaurioitunut.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Tärkeimmät yhtiön toimittamat tiedot olivat peräisin kahdesta julkaistusta tutkimuksesta, joihin osallistui 126 reiluluun rustovaurioista kärsivää potilasta. Tutkimuksissa Hyalograft C -omakudossiirrevalmistetta verrattiin mikromurtumakorjaukseksi kutsuttuun leikkaustekniikkaan. Tehon pääasiallinen mitta perustui potilaiden ruston ja polven toiminnan arviointiin hoidon jälkeen.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Pitkälle kehitetyissä hoidoissa käytettävien valmisteiden arviointiin kuuluu pitkälle kehitettyjä hoitoja käsittelevän komitean (CAT:n) toteuttama arviointi, ennen kuin lääkevalmistekomitea voi antaa lausuntonsa.

Tämä hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun pitkälle kehitettyjä hoitoja käsittelevä komitea oli arvioinut yhtiön aluksi toimittamat asiakirjat ja laatinut kysymysluettelon. Yhtiö ei ollut vielä vastannut näihin kysymyksiin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana.

Mikä oli pitkälle kehitettyjä terapioiden käsittelevän komitean suositus tuolloin?

Hakemuksen peruuttamisen ajankohtana pitkälle kehitettyjä hoitoja käsittelevä komitea ei ollut antanut lopullisia suosituksiaan, mutta sillä oli joitakin hakemuksen mukana toimitettuihin tietoihin liittyviä huolenaiheita. Jotkin huolenaiheet liittyivät valmistusprosessiin. Myös päätutkimusten toteuttamistapa herätti kysymyksiä. Esimerkiksi potilaiden satunnainen valinta kuhunkin hoitoryhmään epäonnistui, mikä aiheutti epävarmuutta siitä, miten tulokset pitäisi tulkita.

Kaiken kaikkiaan valmisteen ehdotettua käyttöä ei voitu perustella potilailla tehtyjen tutkimusten tuloksilla, eikä sen turvallisuutta voitu varmistaa tähän mennessä esitettyjen tietojen perusteella. Yhtiöltä odotettiin lisää tietoa lääkkeen hyödystä ja turvallisuudesta.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että päätös peruuttaa hakemus perustuu pitkälle käsitteleviä hoitoja käsittelevän komitean alustavan arvioinnin tulokseen.

Yhtiön kirje, jossa se ilmoittaa lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, on [tässä](#).

¹ Asetus (EY) N:o 1394/2007.

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on potilaille?

Tämän peruutuksen vuoksi Hyalograft C -omakudossiirrevalmistetta ei ole enää saatavilla, ja hoitoalan ammattilaisten on harkittava muita hoitovaihtoehtoja potilaille, joilla on reisiluun rustovaurioita.

Yhtiö ilmoitti Euroopan lääkevirastolle, ettei hakemuksen peruuttamisen ajankohtana ollut meneillään Hyalograft C -omakudossiirrevalmisteseen liittyviä kliinisiä tutkimuksia tai erityiskäyttöohjelmia.

Jos potilaalla on kysyttävää, hänen tulee ottaa yhteyttä lääkäriin.