



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kérdések és válaszok

---

# A Hyalograft C autografra (in vitro expandált, hyaluronsav alapú ún. scaffoldra [hálózatos tartószerkezetre] ültetett és azon tenyésztett, karakterizált, életképes, autológ chondrocytákra) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2013. január 14-én az Anika Therapeutics S.r.l. vállalat hivatalosan értesítette az Európai Gyógyszerügynökséget, hogy vissza kívánja vonni a hirtelen vagy ismétlődő trauma által okozott, a femurcondyluson és trochleán (a térdízület részét képező combcsontvégen) kialakuló porchiányok helyreállítására szánt Hyalograft C autografra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

## Milyen típusú gyógyszer a Hyalograft C autograft?

A Hyalograft C autograft a betegtől származó és 2 x 2 cm-es, négyzet alakú betétekre ültetett porcsejtekből álló implantátum.

A Hyalograft C autograft egy ún. szöveti sebészeti fejlett terápiás termék. Ez a gyógyszertípus olyan sejteket vagy szöveteket tartalmaz, amelyeket úgy manipuláltak, hogy fel lehessen azokat használni szövet helyreállítására, regenerálására vagy helyettesítésére. A Hyalograft C autograft orvosi eszközt (a scaffoldot) magába foglaló ún. kombinált fejlett terápiás termék.

## Milyen szempontból vizsgálták a Hyalograft C autograftot?

A Hyalograft C autograftot a femur (combcsont) – a térdízület részét képező – végén kialakuló porchiányok helyreállítására történő alkalmazása szempontjából vizsgálták. A hirtelen vagy ismétlődő porctruma által okozott tünetek kezelésére alkalmazták.



A Hyalograft C autograftot a következő EU országban alkalmazták a fejlett kezelésekről szóló EU rendelet 2009-es bevezetése előtt: Ausztria, Bulgária, Cseh Köztársaság, Németország, Görögország, Magyarország, Olaszország, Litvánia, Lengyelország és Románia.<sup>1</sup> A rendelet értelmében, az EU-ban már elérhető fejlett kezeléseket, az egész EU-ra kiterjedő forgalomba hozatali engedély megszerzése érdekében alá kell vetni egy EMA által végzett értékelésnek.

## **Hogyan fejt ki hatását a Hyalograft C autograft?**

A Hyalograft C autograft a betegből származó és a szervezeten kívül szaporított chondrocytákból (porcsejtekből) áll. A sejteket ezt követően négyzet alakú betétekre ültetik, amelyekkel a sebész kitölti az olyan csontfelszíneket, ahol a porc károsodott.

## **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A vállalat által benyújtott fő adatok két közzétett klinikai vizsgálatból származnak, amelyekbe femorális porchiányban szenvedő 126 beteget vontak be, és amelyekben a Hyalograft C autograftot mikrofraktúras helyreállításként nevezett sebészeti technikával hasonlították össze. A hatásosság fő mércéje a betegek porcszövetének és térdízületi funkciójának kezelés utáni értékelésén alapult.

## **A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?**

A fejlett terápiás termékek értékeléséhez hozzátartozik egy a fejlett terápiákkal foglalkozó bizottság (Committee for Advanced Therapies, CAT) által végzett vizsgálat, amelyet még azelőtt végeznek el, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) kifejtjené a véleményét a termékekkel kapcsolatban.

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy a CAT már értékelt a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslisztát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

## **Mit tartalmazott a CAT ajánlása az adott időpontban?**

A visszavonás időpontjában a CAT még nem adta ki végleges ajánlását, de felmerültek aggályok a kérelemben benyújtott adatokkal kapcsolatban. Egyes aggályok a gyártási folyamathoz fűződtek. Felmerültek a fő vizsgálatok levezetésével kapcsolatos kérdések is, például az, hogy a kezelési csoportokba a betegeket nem randomszerűen választották ki, és emiatt az eredmények értékelésének módja bizonytalanná vált.

Összességében a betegekkel végzett vizsgálatok eredményei nem indokolták a termék alkalmazási ajánlását, biztonságosságát pedig nem lehetett meggyőzően megállapítani az addig bemutatott adatok alapján. A Bizottság további adatokat várt a vállalattól a termék előnyeire és biztonságosságára vonatkozóan.

## **Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?**

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat kijelentette, hogy a visszavonással kapcsolatos döntését a CAT előzetes értékelésének eredményére alapozta.

A visszavonással kapcsolatos levél [itt](#) olvasható.

---

<sup>1</sup> Az 1394/2007/ EK rendelet

## **Milyen következményekkel jár a visszavonás a betegekre nézve?**

A visszavonást követően a Hyalograft C autograft többé nem lesz elérhető, így az egészségügyi szakembereknek egyéb lehetőségeket kell fontolóra venniük a femorális porchiányban szenvedő betegek kezelésére.

A vállalat tájékoztatta az EMA-t, hogy a visszavonás idején a Hyalograft C autograft készítménnyel kapcsolatban nincs folyamatban klinikai vizsgálat vagy ún. kivételes gyógyszerhasználati program.

Kérdéseikkel a betegek forduljanak orvosukhoz.