



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Otázky a odpovede

---

# Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre autogénny štep Hyalograft C (charakterizované živé autológne chondrocyty expandované *in vitro*, nasadené a kultivované na hyalurónanovom nosnom skelete)

Dňa 14. januára 2013 spoločnosť Anika Therapeutics S.r.l. oficiálne oznámila Európskej agentúre pre lieky rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre autogénny štep Hyalograft C, ktorý sa mal používať na nápravu porúch chrupky femorálnych kondylov a trochley (koniec stehennej kosti, ktorý tvorí časť kolena) spôsobených náhlou alebo opakovanou traumou.

## Čo je autogénny štep Hyalograft C?

Autogénny štep Hyalograft C je implantát pozostávajúci z chrupkových buniek pochádzajúcich od pacienta, ktoré boli nasadené na štvorcové vložky s rozmermi 2 x 2 cm.

Autogénny štep Hyalograft C je typom lieku na inovatívnu liečbu, ktorý sa nazýva „výrobok pripravený metódou tkanivového inžinierstva“. Ide o liek obsahujúci bunky alebo tkanivá, ktoré boli upravené tak, aby sa dali použiť na opravu, regeneráciu alebo náhradu tkaniva. Autogénny štep Hyalograft C je tzv. kombinovaný liek na inovatívnu liečbu, pretože jeho súčasťou je zdravotnícka pomôcka (nosný skelet).

## Z akého hľadiska sa autogénny štep Hyalograft C skúmal?

Autogénny štep Hyalograft C sa skúmal z hľadiska používania pri náprave porúch chrupky na konci femuru (stehennej kosti), kde kosť tvorí časť kolenného kĺbu. Mal sa používať u dospelých so symptómami spôsobenými náhlou alebo opakovanou traumou chrupky.

Pred prijatím nariadenia EÚ o inovatívnych liekoch v roku 2009 sa autogénny štep Hyalograft C používal v nasledujúcich krajinách EÚ: Bulharsko, Česká republika, Grécko, Litva, Maďarsko, Nemecko,



Poľsko, Rakúsko, Rumunsko a Taliansko.<sup>1</sup> Podľa tohto nariadenia musí agentúra EMA preskúmať inovatívne lieky, ktoré už sú dostupné v EÚ, aby získali povolenie na uvedenie na trh v celej EÚ.

## **Ako autogénny štep Hyalograft C účinkuje?**

Autogénny štep Hyalograft C sa vyrába z chondrocytov (chrupkových buniek) odobratých pacientovi a pestovaných mimo tela. Bunky sa potom nasadia na štvorcové vložky, ktorými chirurg vyplní priestory na kosti, kde je poškodená chrupka.

## **Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?**

Hlavné údaje, ktoré predložila spoločnosť, pochádzajú z dvoch publikovaných štúdií zahŕňajúcich 126 pacientov s poruchami stehennej chrupky, v ktorých sa autogénny štep Hyalograft C porovnával s chirurgickou technikou známou ako náprava mikrofraktúrou. Hlavné miery účinnosti boli založené na hodnotení funkcie chrupky a kolena pacientov po liečbe.

## **V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?**

Hodnotenie liekov na inovatívnu liečbu zahŕňa posúdenie Výborom pre inovatívnu liečbu (CAT) predtým, ako Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) prijme stanovisko.

Žiadosť bola stiahnutá po tom, ako výbor CAT vyhodnotil pôvodnú dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a sformuloval zoznam otázok. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na otázky výboru CAT.

## **Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CAT?**

Výbor CAT v čase stiahnutia žiadosti nevydal záverečné odporúčanie, ale mal určité výhrady v súvislosti s údajmi predloženými v rámci žiadosti. Niektoré výhrady súviseli s procesom výroby. Vyskytli sa aj otázky týkajúce sa spôsobu vykonania hlavných štúdií, napríklad toho, že do jednotlivých liečebných skupín neboli pacienti vyberaní náhodne, čo viedlo k neistote v súvislosti s interpretáciou výsledkov.

Výsledky štúdií u pacientov celkovo neposkytli dôvod na navrhované použitie lieku a na základe údajov, ktoré boli doteraz predložené, nemožno s istotou preukázať jeho bezpečnosť. Od spoločnosti sa očakáva, že predloží ďalšie údaje o jeho prínosoch a bezpečnosti.

## **Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?**

Spoločnosť vo svojom liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti uviedla, že sa rozhodla stiahnuť žiadosť na základe výsledku predbežného posúdenia výboru CAT.

List oznamujúci stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

## **Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov?**

Po stiahnutí tejto žiadosti už autogénny štep Hyalograft C nebude dostupný a zdravotnícki pracovníci budú musieť zvážiť iné možnosti liečby pacientov s poruchami stehennej chrupky.

---

<sup>1</sup> Nariadenie (ES) č. 1394/2007.

Spoločnosť informovala agentúru EMA, že v čase stiahnutia žiadosti neprebíhali s autogénnym štepom Hyalograft C žiadne klinické skúšania ani programy na použitie v naliehavých prípadoch.

Ak majú pacienti akékoľvek otázky, mali by sa porozprávať so svojim lekárom.