



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z avtolognim presadkom Hyalograft C (karakterizirani viabilni avtologni hondrociti, razmnoženi in vitro ter nasajeni in gojeni na nosilcu na osnovi hialuronske kisline)

Družba Anika Therapeutics S.r.l. je dne 14. januarja 2013 uradno obvestila Evropsko agencijo za zdravila, da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z avtolognim presadkom Hyalograft C, namenjenim zdravljenju okvar hrustanca femoralnih kondilov in trohlee (končnega dela stegenice, ki je del kolena), ki jih povzročijo nenadne ali ponavljajoče se poškodbe.

Kaj je avtologni presadek Hyalograft C?

Avtologni presadek Hyalograft C je vsadek, sestavljen iz hrustančnih celic, ki so bile odvzete bolniku in nasajene na kvadratne vsadke velikosti 2 x 2 cm.

Avtologni presadek Hyalograft C je vrsta zdravila za napredno zdravljenje, ki ga imenujemo „izdelek tkivnega inženiringa“. Gre za vrsto zdravila, ki vsebuje celice ali tkiva, ki so bili spremenjeni tako, da se lahko uporabljajo za obnovitev, regeneracijo ali nadomeščanje tkiva. Avtologni presadek Hyalograft C je „kombinirano zdravilo za napredno zdravljenje“, saj vključuje tudi medicinski pripomoček (nosilec).

Zakaj je bil avtologni presadek Hyalograft C ovrednoten?

Avtologni presadek Hyalograft C je bil ovrednoten glede uporabe pri zdravljenju okvar hrustanca na končnem delu femorja (stegenice), tj. delu, ki sestavlja kolenski sklep. Uporabljal naj bi se pri odraslih s simptomi, ki jih povzroči nenadna ali ponavljajoča se poškodba hrustanca.

Preden je leta 2009 začela veljati uredba EU o zdravilih za napredno zdravljenje se je avtologni presadek Hyalograft C v EU uporabljal v Avstriji, Bolgariji, Češki republiki, Nemčiji, Grčiji, na



Madžarskem, v Italiji, Litvi, na Poljskem in v Romuniji.¹ V skladu z uredbo mora zdravila za napredno zdravljenje, ki so na voljo v EU, oceniti Evropska agencija za zdravila, preden se lahko zanje odobri dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Kako avtologni presadek Hyalograft C deluje?

Avtologni presadek Hyalograft C sestoji iz hondrocitov (hrustančnih celic), ki se jih odvzame bolniku in vzgoji zunaj telesa. Celice se nato nasadi na kvadratne vsadke, s katerimi kirurg zapolni prazne prostore na kosti, kjer je bil hrustanec poškodovan.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Glavni podatki, ki jih je predložila družba, so izvirali iz dveh objavljenih študij, ki sta vključevali 126 bolnikov z okvarami hrustanca femoralnega kondila, v katerih so avtologni presadek Hyalograft C primerjali s kirurško tehniko, imenovano postopek mikrofrakture. Glavna merila učinkovitosti so temeljila na oceni delovanja hrustanca in kolena pri bolnikih po zdravljenju.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Postopek ocenjevanja zdravil za napredno zdravljenje mora vključevati oceno Odbora za zdravila za napredno zdravljenje (CAT), preden lahko Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) sprejme mnenje.

Vlogo so umaknili po tem, ko je odbor CAT ocenil začetno dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Družba v času umika še ni odgovorila na zastavljena vprašanja.

Kakšno je bilo takrat priporočilo CAT?

Odbor CAT v času umika še ni izdal končnega priporočila, vendar pa je izrazil določene pomisleke glede podatkov, predloženih v podporo vlogi. Nekateri pomisleki so bili povezani s proizvodnim postopkom. Pojavila pa so se tudi vprašanja glede načina izvedbe glavnih študij, saj družba na primer ni zagotovila naključnega izbora bolnikov za posamezne skupine, ki so prejemale zdravljenje, zato so se pojavile nejasnosti glede razlage rezultatov.

Na splošno rezultati študij pri bolnikih ne upravičujejo predlagane uporabe zdravila, poleg tega pa iz podatkov, ki so bili predloženi do tega trenutka, ni bilo mogoče dokončno potrditi njegove varnosti. Odbor je čakal, da družba predloži dodatne podatke o koristih in varnosti zdravila.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v dopisu, s katerim agencijo obvešča o umiku vloge, navedla, da se je za umik vloge odločila na podlagi rezultatov predhodnega ocenjevanja odbora CAT.

Dopis o umiku je na voljo [tukaj](#).

Kakšne so posledice umika za bolnike?

Zaradi umika vloge avtologni presadek Hyalograft C ne bo več na voljo, zato bodo morali zdravstveni delavci preučiti druge možnosti zdravljenja bolnikov z okvarami hrustanca femoralnega kondila.

¹ Uredba (ES) št. 1394/2007

Družba je Evropsko agencijo za zdravila (EMA) obvestila, da v času umika niso potekala nobena klinična preskušanja ali programi sočutne uporabe avtolognega presadka Hyalograft C.

Bolniki, ki imajo kakršna koli vprašanja, naj se pogovorijo s svojim zdravnikom.