



Nuova terapia endoscopia per i difetti della cartilagine del ginocchio

Data 05 giugno 2017
Categoria Professione

L'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha raccomandato l'autorizzazione all'immissione in commercio di un nuovo medicinale per terapie avanzate (ATMP) per il trattamento dei pazienti adulti che presentano difetti sintomatici della cartilagine articolare nei condili femorali e nella patella, con estensione dell'area interessata inferiore a 10 cm².

Il danno alla cartilagine articolare del ginocchio è un problema ortopedico comune che spesso si verifica nelle persone giovani e attive. Può derivare da traumi diretti, lesioni ripetitive, fratture o condizioni degenerative e infiammatorie. Le persone con questo tipo di danno provano dolore ricorrente, gonfiore dell'articolazione e blocco del ginocchio, e la loro capacità di camminare o praticare sport può essere compromessa. Per ripristinare la funzionalità del ginocchio, i pazienti spesso optano per l'intervento chirurgico.

Spherox è un ATMP composto da sferoidi, aggregati sferici di condrociti (cellule che si trovano nella cartilagine sana). In questa terapia, viene prelevata una piccola porzione di cartilagine sana per produrre in laboratorio sferoidi di condrociti che saranno inseriti artroscopicamente nel ginocchio del paziente per formare nuovi tessuti che guariscano il difetto.

Gli effetti di Spherox sono stati valutati in due studi clinici, con pazienti tra i 18 ei 50 anni di età. Il primo studio, uno studio di fase II, ha incluso 75 pazienti con estensione del difetto da 4 a 10 cm², mentre nel secondo, uno studio di fase III, sono stati coinvolti 102 pazienti con estensione del difetto da 1 a 4 cm². L'efficacia del trattamento è stata analizzata attraverso il questionario KOOS (Knee injury and Osteoarthritis Outcome Score), che prende in considerazione le osservazioni dei pazienti sui loro problemi associati al ginocchio, come il dolore, l'impatto sulla vita quotidiana, lo sport, le attività ricreative e la qualità della vita. In entrambi gli studi è stato osservato un miglioramento statisticamente significativo del punteggio.

Gli eventi avversi più importanti riportati negli studi sono stati effetti collaterali spesso riscontrati dopo l'intervento chirurgico del ginocchio, come il ritardo nella guarigione della ferita, la chiusura del giunto, l'effusione articolare e il gonfiore, nonché casi molto limitati o singoli di trombosi venosa e embolia polmonare. Per ottenere ulteriori informazioni sugli effetti a lungo termine di Spherox, il richiedente si è impegnato a seguire i pazienti per altri 60 mesi negli studi clinici in corso.

Spherox è stato valutato dal Comitato per le Terapie Avanzate (CAT), il comitato scientifico dell'EMA specializzato per gli ATMP, come terapie geniche o cellulari. Nella riunione del maggio 2017, il CAT ha raccomandato per Spherox un parere positivo al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP). Il CHMP ha concordato con la raccomandazione adottando un parere positivo per l'autorizzazione del medicinale.

Durante lo sviluppo di Spherox il richiedente ha ricevuto consulenza scientifica da parte dell'Agenzia.

Il parere adottato dal CHMP nella riunione di maggio costituisce una fase intermedia del percorso di accesso a Spherox per i pazienti. Il parere del CHMP sarà ora inviato alla Commissione Europea per l'adozione di una decisione relativa all'immissione in commercio del medicinale in tutta l'Unione Europea. Una volta autorizzato in UE, ogni Stato membro dovrà assumere una decisione sul prezzo e il rimborso in base al ruolo/uso potenziale del medicinale nel contesto del proprio sistema sanitario nazionale.

Fonte: AIFA