



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/1380/2018  
EMA/H/C/004258

## Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

---

# Alofisel

## Darvadstrocel

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Alofisel. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Alofisel zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Alofisel benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

### Was ist Alofisel und wofür wird es angewendet?

Alofisel ist ein Arzneimittel zur Behandlung komplexer Analfisteln bei Erwachsenen mit Morbus Crohn (eine entzündliche Erkrankung des Darms), wenn ein konventionelles oder biologisches Arzneimittel nicht hinreichend wirksam war.

Bei Fisteln handelt es sich um eine anormale Verbindung zwischen dem Enddarm und der Haut nahe dem Anus. Komplexe Fisteln sind jene mit mehreren anormalen Verbindungen und Öffnungen oder mit Verbindungen, die tief in den Körper eingedrungen sind, oder jene, bei denen andere Komplikationen, wie etwa eine Eiteransammlung, bestehen.

Alofisel enthält den Wirkstoff Darvadstrocel, der Stammzellen aus Fettgewebe von erwachsenen Spendern enthält. Es gehört zu einer Gruppe von Arzneimitteln für neuartige Therapien, die „somatische Zelltherapeutika“ genannt werden. Dabei handelt es sich um Arzneimittel, die Zellen oder Gewebe enthalten, die so behandelt wurden, dass sie zur Heilung, Diagnose oder Vorbeugung von Krankheiten verwendet werden können.

Da es nur wenige Patienten mit Analfisteln gibt, gilt die Krankheit als selten, und Alofisel wurde am 8. Oktober 2009 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.



## Wie wird Alofisel angewendet?

Alofisel sollte nur von einem Facharzt mit Erfahrung in der Diagnose und Behandlung der Erkrankung, für die es angewendet wird, verabreicht werden. Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.

Alofisel wird nur einmal verabreicht. Der Patient erhält ein Anästhetikum (entweder wird der Patient in Schlaf versetzt oder der Behandlungsbereich betäubt). Nachdem die Fisteln für die Behandlung in einem Operationssaal vorbereitet wurden, wird der Inhalt von zwei Durchstechflaschen (die je 30 Millionen Zellen enthalten) im Bereich der inneren Öffnungen und zwei weitere Durchstechflaschen durch die äußeren Öffnungen in die Wände der Fisteln injiziert.

Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

## Wie wirkt Alofisel?

Alofisel wird aus „mesenchymalen Stammzellen“ aus dem Fettgewebe eines Spenders hergestellt. Um das Arzneimittel herzustellen, werden die Zellen im Labor ausgewählt und kultiviert, um deren Anzahl zu erhöhen. Wenn sie in die Wände der Fistel injiziert wurden, können diese Zellen helfen, die Entzündung zu lindern, und das Wachstum neuen Gewebes zu unterstützen. Dies regt die Fistel dazu an zu heilen und sich zu schließen.

## Welchen Nutzen hat Alofisel in den Studien gezeigt?

Eine Hauptstudie, in die 212 Patienten mit Morbus Crohn und komplexen Analfisteln eingeschlossen wurden, kam zu dem Ergebnis, dass Alofisel 24 Wochen nach der Behandlung wirksamer als Placebo (eine Scheinbehandlung) ist. Die Behandlung mit konventionellen oder biologischen Arzneimitteln hatte bei diesen Patienten nicht gewirkt. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit, die sogenannte „kombinierte Remission“, war das Schließen anormaler äußerer Öffnungen zusammen mit dem Nichtvorhandensein innerer Verbindungen von einer Größe von mehr als 2 cm mit Flüssigkeit (da bei ihnen die Wahrscheinlichkeit besteht, dass sich die Fistel erneut öffnet). Von den mit Alofisel behandelten Patienten trat eine kombinierte Remission bei fast 50 % der Patienten (53 von 107) ein, verglichen mit 34 % der Patienten (36 von 105), die Placebo erhalten hatten.

## Welche Risiken sind mit Alofisel verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Alofisel (, die bis zu 1 von 10 Personen betreffen können,) sind Analabszesse (eine Schwellung mit Eiteransammlung), Proktalgie (anale Schmerzen), Analfistel und Schmerzen während der Behandlung.

Alofisel darf nicht bei Patienten mit Überempfindlichkeit (Allergie) gegenüber Rinderserum (die durchsichtige Flüssigkeit im Blut von Rindern) oder gegenüber einem der Bestandteile von Alofisel angewendet werden.

## Warum wurde Alofisel zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Alofisel gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen. Alofisel ist für die Behandlung komplexer Analfisteln, die nicht hinreichend auf andere Behandlungen angesprochen haben, von Nutzen. Die Sicherheitsdaten für Alofisel sind begrenzt, aber sie liefern hinreichende Informationen zum Muster der Nebenwirkungen.

## **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Alofisel ergriffen?**

Das Unternehmen, das Alofisel in Verkehr bringt, wird für Angehörige der Heilberufe Schulungsmaterialien zur korrekten Anwendung und der Möglichkeit der Übertragung einer Infektion auf den Patienten bereitstellen. Das Unternehmen wird zudem eine Studie abschließen, um weitere Informationen zur Wirksamkeit und Sicherheit von Alofisel zu sammeln.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Alofisel, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

## **Weitere Informationen über Alofisel**

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Alofisel finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Alofisel benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Alofisel finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).