



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/583034/2023
EMA/H/C/006084

Skyclarys (*omaveloxolone*)

Общ преглед на Skyclarys и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Skyclarys и за какво се използва?

Skyclarys е лекарство, което се използва при пациенти на възраст 16 и повече години за лечение на атаксия на Фридрайх — наследствено заболяване, което причинява увреждане на нервната система, което води до затруднения в координацията, баланса и движението, умора, трудности в говора, както и повишен риск от кардиомиопатия (увреждане на сърдечния мускул) и диабет.

Атаксията на Фридрайх се счита за рядко заболяване и Skyclarys е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 27 юни 2018 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта](#) на ЕМА.

Skyclarys съдържа активното вещество омавелоксолон (*omaveloxolone*).

Как се използва Skyclarys?

Skyclarys се отпуска само по ограничено лекарско предписание, което означава, че се прилага при по-строги условия от обичайното. Лекарството трябва да се прилага и наблюдава само от лекар с опит в лечението на пациенти с атаксия на Фридрайх.

Лекарството се предлага под формата на капсули, които се приемат през устата веднъж дневно. Може да се наложи дозата да бъде намалена, ако пациентът приема други лекарства, наречени инхибитори на СYP3A, които биха могли да повлияят на начина, по който Skyclarys се разгражда в организма.

За повече информация относно употребата на Skyclarys вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Skyclarys?

Не е напълно изяснено как действа активното вещество в Skyclarys, омавелоксолон. Доказано е обаче, че активира пътя Nrf2, който помага на клетките да реагират на оксидативен стрес (състояние, което може да възникне, когато в организма има твърде много свободни радикали и няма достатъчно антиоксиданти за елиминирането им, което може да доведе до увреждане на клетките и тъканите). Изглежда, че нивата и активността на Nrf2 намаляват при пациентите с атаксия на Фридрайх.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands
Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us
Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Какви ползи от Skyclarys са установени в проучванията?

В едно основно проучване, обхващащо 103 пациенти с атаксия на Фридрайх на възраст между 16 и 40 години, Skyclarys е по-ефективен от плацебо (сляпо лечение) за намаляване на физическото увреждане след 48 седмици на лечение.

Модифицираната скала за оценка на атаксия на Фридрайх (mFARS), която се състои от поредица оценки от физически прегледи, се използва за оценка на сериозността на неврологичните (свързани с нервите или нервната система) симптоми на атаксията на Фридрайх. Ако скорът по mFARS намалее, това означава, че има намаляване на физическото увреждане.

Res cavus (вдлъбнато стъпало) е дефект на краката, който често се счита за усложнение от атаксията на Фридрайх. Тъй като няма стандартизиран метод за класифициране на тежестта на res cavus и поради възможното въздействие на заболяването върху скор по mFARS, пациентите с res cavus не са включени в първичните анализи.

От 82 пациенти без res cavus при приемащите Skyclarys, се наблюдава намаление от около 1,6 в скор по mFARS в сравнение с увеличение от около 0,9 при пациентите, на които е приложено плацебо.

Проучването оценява също въздействието на лечението върху скор по FA-ADL на пациентите — мярка, използвана за оценка на това колко добре хората с атаксия на Фридрайх могат да извършват дейности, свързани с всекидневния живот, например обличане, къпане и хранене, с по-високи стойности, показващи по-високи нива на инвалидност. От 82-мата пациенти без res cavus, при пациентите, на които е прилаган Skyclarys, има намаление с около 0,2 в техния скор по FA-ADL в сравнение с увеличение от около 1,1 при пациентите на плацебо.

Какви са рисковете, свързани със Skyclarys?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Skyclarys вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Skyclarys (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват повишени нива на чернодробните ензими (известни като аланин трансаминаза и аспартат аминотрансфераза), главоболие, намаляване на телото, гадене, повръщане, диария, усещане за умора, болка в устата и гърлото, болки в гърба, мускулни спазми, грип и намален апетит.

Защо Skyclarys е разрешен за употреба в ЕС?

Към момента на одобрението има значителна незадоволена медицинска нужда от пациенти с атаксия на Фридрайх, като се има предвид, че няма други лекарства, разрешени за лечение на заболяването. Показано е, че Skyclarys е от полза за пациентите с атаксия на Фридрайх. Въпреки че има неясноти, свързани с основното проучване, като например малкия брой пациенти, изключването на пациенти с тежки форми на заболяването (тези с напреднало сърдечно заболяване и диабет) и усложненията като res cavus (както е определено в проучването), Агенцията счита, че наблюдаваните ползи важат и за тези пациенти. Като цяло профилът на безопасност на Skyclarys се счита за приемлив, като се има предвид, че нежеланите реакции в основното проучване като цяло са леки до умерени по тежест и повечето отшумяват в рамките на два месеца.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Skyclarys са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Skyclarys?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Skyclarys, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Skyclarys непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Skyclarys, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Skyclarys:

Допълнителна информация за Skyclarys можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys.