



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Skyclarys (*omaveloxolon*)

Přehled pro přípravek Skyclarys a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Skyclarys a k čemu se používá?

Skyclarys je léčivý přípravek používaný u pacientů ve věku od 16 let k léčbě Friedreichovy ataxie, což je dědičné onemocnění, které způsobuje poškození nervového systému a vede k obtížím s koordinací, rovnováhou a pohybem, únavě, potížím s mluvením, jakož i ke zvýšenému riziku kardiomyopatie (poškození srdečního svalu) a diabetu.

Friedreichova ataxie je vzácné onemocnění a přípravek Skyclarys byl označen dne 27. června 2018 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Skyclarys obsahuje léčivou látku omaveloxolon.

### Jak se přípravek Skyclarys používá?

Výdej přípravku Skyclarys je vázán na „zvláštní“ lékařský předpis, což znamená, že se na jeho použití vztahují přísnější podmínky. Léčbu tímto přípravkem má zahájit a sledovat pouze lékař se zkušenostmi v léčbě pacientů s Friedreichovou ataxií.

Přípravek je k dispozici ve formě tobolek, které se užívají ústy jednou denně. Pokud pacient užívá jiné léčivé přípravky zvané „inhibitory CYP3A“, které mohou ovlivnit způsob odbourávání přípravku Skyclarys v těle, může být zapotřebí dávku snížit.

Více informací o používání přípravku Skyclarys naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

### Jak přípravek Skyclarys působí?

Není zcela známo, jak léčivá látka v přípravku Skyclarys, omaveloxolon, působí. Bylo však prokázáno, že aktivuje dráhu Nrf2, což buňkám pomáhá reagovat na oxidační stres (stav, ke kterému může dojít, pokud je v těle příliš mnoho volných radikálů a není v něm dostatek antioxidantů na jejich odstranění, což může vést k poškození buněk a tkání). Omaveloxolon u pacientů s Friedreichovou ataxií podle všeho snižuje hladiny a aktivitu Nrf2.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Jaké přínosy přípravku Skyclarys byly prokázány v průběhu studií?**

V hlavní studii, do které bylo zařazeno 103 pacientů s Friedreichovou ataxií ve věku od 16 do 40 let, byl přípravek Skyclarys v rámci zmírnění tělesného poškození po 48 týdnech léčby účinnější než placebo (neúčinný přípravek).

K posouzení závažnosti neurologických příznaků (příznaků týkajících se nervů nebo nervového systému) Friedreichovy ataxie byla použita modifikovaná škála hodnocení Friedreichovy ataxie (mFARS), která sestává ze souboru hodnocení na základě lékařského vyšetření. Pokud se skóre mFARS sníží, znamená to, že se zmírnilo tělesné postižení.

Pes cavus je vada chodidla, která je často vnímána jako komplikace Friedreichovy ataxie. Vzhledem k tomu, že neexistuje žádná standardizovaná metoda klasifikace závažnosti pes cavus, a vzhledem k možnému dopadu této vady na skóre mFARS nebyli pacienti s pes cavus zahrnuti do primárních analýz.

Ve skupině 82 pacientů bez pes cavus se u pacientů léčených přípravkem Skyclarys skóre mFARS snížilo přibližně o 1,6 bodu, zatímco u pacientů, kterým bylo podáváno placebo, se zvýšilo o přibližně 0,9 bodu.

Studie hodnotila také dopad léčby na skóre FA-ADL, což je měřítko používané k posouzení toho, jak mohou lidé s Friedreichovou ataxií vykonávat běžné denní aktivity, jako je oblékání, koupání a jedení, přičemž vyšší skóre svědčí o větší míře postižení. Ve skupině 82 pacientů bez pes cavus se u pacientů léčených přípravkem Skyclarys skóre FA-ADL snížilo přibližně o 0,2 bodu, zatímco u pacientů, kterým bylo podáváno placebo, se zvýšilo o přibližně 1,1 bodu.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Skyclarys?**

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Skyclarys je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Skyclarys (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou zvýšené hladiny jaterních enzymů (alanintransaminázy a aspartátaminotransferázy), bolest hlavy, snížení tělesné hmotnosti, pocit na zvracení, zvracení, průjem, pocit únavy, bolest v ústech a krku, bolest zad, svalové křeče, chřipka a snížená chuť k jídlu.

## **Na základě čeho byl přípravek Skyclarys registrován v EU?**

V době schválení existovala u pacientů s Friedreichovou ataxií významná nenaplněná léčebná potřeba, jelikož k léčbě tohoto onemocnění nebyly registrovány žádné jiné léčivé přípravky. Bylo prokázáno, že přípravek Skyclarys je pro pacienty s Friedreichovou ataxií přínosný. Přestože v souvislosti s hlavní studií panovaly určité pochybnosti, jako je malý počet pacientů, vyloučení pacientů s těžkými formami onemocnění (pacientů s pokročilým srdečním onemocněním a diabetem) a komplikacemi, jako je pes cavus (definované ve studii), agentura dospěla k závěru, že pozorované přínosy se vztahují i na tyto pacienty. Vzhledem k tomu, že nežádoucí účinky v hlavní studii byly obvykle mírné až středně závažné a většinou do dvou měsíců odezněly byl bezpečnostní profil přípravku Skyclarys považován celkově za zvladatelný.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Skyclarys převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Skyclarys?**

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Skyclarys, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Skyclarys průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Skyclarys jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

### **Další informace o přípravku Skyclarys**

Další informace o přípravku Skyclarys jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys).