



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Skyclarys (*omaveloxolon*)

En oversigt over Skyclarys, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Skyclarys, og hvad anvendes det til?

Skyclarys er et lægemiddel, der anvendes hos patienter på 16 år og derover til behandling af Friedreichs ataksi, en nedarvet sygdom, der forårsager skade på nervesystemet. Sygdommen medfører vanskeligheder med koordination, balance og bevægelse, træthed, talebesvær samt øget risiko for kardiomyopati (skade på hjertemusklen) og diabetes.

Friedreichs ataksi er sjælden, og Skyclarys blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 27. juni 2018. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på EMA's [websted](#).

Skyclarys indeholder det aktive stof omaveloxolon.

### Hvordan anvendes Skyclarys?

Skyclarys fås kun på en "særlig" recept. Det betyder, at det anvendes under strengere betingelser end normalt. Behandling med lægemidlet bør kun indledes og overvåges af en læge med erfaring inden for behandling af patienter med Friedreichs ataksi.

Lægemidlet fås som kapsler, der tages gennem munden én gang dagligt. Det kan være nødvendigt at nedsætte dosen, hvis patienten tager andre lægemidler kaldet "CYP3A-hæmmere", som kan påvirke måden, hvorpå Skyclarys nedbrydes i kroppen.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Skyclarys, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

### Hvordan virker Skyclarys?

Det er ikke helt klart, hvordan det aktive stof i Skyclarys, omaveloxolon, virker. Det er dog påvist, at det aktiverer Nrf2-vejen, som hjælper cellerne med at reagere på oxidativ stress (en tilstand, der kan forekomme, når der er for mange frie radikaler i kroppen og ikke nok antioxidant til at slippe af med dem, hvilket kan medføre celle- og vævsskade). Nrf2-niveauet og -aktiviteten synes at være reduceret hos patienter med Friedreichs ataksi.

---

**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



## Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Skyclarys?

I et hovedstudie blandt 103 patienter med Friedreichs ataksi i alderen 16-40 år var Skyclarys mere effektivt end placebo (en uvirksom behandling) til at reducere fysisk funktionshæmning efter 48 ugers behandling.

Den modificerede vurderingsskala for Friedreichs ataksi (mFARS), som består af en række vurderinger baseret på fysiske undersøgelser, blev brugt til at vurdere sværhedsgraden af de neurologiske symptomer på Friedreichs ataksi. Hvis mFARS-scoren falder, betyder det, at der er en reduktion i den fysiske funktionshæmning.

Hulfod er en foddeformitet, der ofte ses som en komplikation ved Friedreichs ataksi. Da der ikke findes en standardiseret metode til at klassificere sværhedsgraden af hulfod, og grundet sygdommens mulige indvirkning på mFARS-scoren, blev patienter med hulfod ikke inkluderet i de primære analyser.

Hos 82 patienter uden hulfod oplevede de patienter, der fik Skyclarys, en reduktion på ca. 1,6 i deres mFARS-score, sammenlignet med en stigning på ca. 0,9 hos dem, der fik placebo.

I studiet vurderede man også behandlingens indvirkning på patienternes FA-ADL-score, et mål, der anvendes til at vurdere, hvor godt personer med Friedreichs ataksi kan udføre dagligdags aktiviteter som f.eks. at tage tøj på, tage bad og spise, hvor en højere score viser større invaliditetsgrad. Af de 82 patienter, der ikke havde hulfod, oplevede de patienter, der fik Skyclarys, en reduktion på ca. 0,2 i deres FA-ADL-score, sammenlignet med en stigning på ca. 1,1 hos dem, der fik placebo.

## Hvilke risici er der forbundet med Skyclarys?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Skyclarys fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Skyclarys (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er forhøjede leverenzymniveauer (kaldet alaninaminotransferase og aspartataminotransferase), hovedpine, væggtab, kvalme, opkastning, diarré, træthed, mund- og halsmerter, rygsmerter, muskelspasmer, influenza og nedsat appetit.

## Hvorfor er Skyclarys godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet var der et væsentligt uopfyldt medicinsk behov hos patienter med Friedreichs ataksi, da der ikke var godkendt andre lægemidler til behandling af sygdommen. Skyclarys viste sig at være til gavn for patienter med Friedreichs ataksi. Skønt der var måleusikkerhed forbundet med hovedstudiet, såsom det lave antal patienter og udelukkelsen af patienter med svære former af sygdommen (dem med fremskreden hjertesygdom og diabetes) og komplikationer såsom hulfod (som fastsat i studiet), fandt agenturet, at de iagttagne fordele også gjaldt disse patienter. Overordnet set blev sikkerhedsprofilen for Skyclarys anset for at være håndterbar, da bivirkningerne i hovedstudiet generelt var milde til moderate og hovedsagelig forsvandt i løbet af to måneder.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Skyclarys opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Skyclarys anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Skyclarys anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Skyclarys løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Skyclarys vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

### **Øvrig information om Skyclarys**

Yderligere information om Skyclarys findes på agenturets websted:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys).