



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Skyclarys (*Omaveloxolon*)

Übersicht über Skyclarys und warum es in der EU zugelassen ist

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

Skyclarys ist ein Arzneimittel, das bei Patienten ab 16 Jahren zur Behandlung der Friedreich-Ataxie angewendet wird, einer Erbkrankheit, die das Nervensystem schädigt, was zu Koordinierungs-, Gleichgewichts- und Bewegungsstörungen sowie zu Müdigkeit, Schwierigkeiten beim Sprechen sowie einem erhöhten Risiko für Kardiomyopathie (Schädigung des Herzmuskels) und Diabetes führt.

Die Friedreich-Ataxie ist selten, und Skyclarys wurde am 27. Juni 2018 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Skyclarys enthält den Wirkstoff Omaveloxolon.

### Wie wird Skyclarys angewendet?

Skyclarys ist nur auf besondere ärztliche Verschreibung erhältlich. Dies bedeutet, dass für die Anwendung strengere als die normalen Bedingungen gelten. Die Behandlung mit dem Arzneimittel sollte nur von einem Arzt eingeleitet und überwacht werden, der Erfahrung in der Behandlung von Friedreich-Ataxie besitzt.

Das Arzneimittel ist als Kapseln erhältlich, die einmal täglich eingenommen werden. Die Dosis muss möglicherweise reduziert werden, wenn der Patient andere Arzneimittel einnimmt, die als „CYP3A-Inhibitoren“ bezeichnet werden und die den Abbau von Skyclarys im Körper beeinträchtigen könnten.

Weitere Informationen zur Anwendung von Skyclarys entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

### Wie wirkt Skyclarys?

Es ist nicht vollständig geklärt, wie der Wirkstoff in Skyclarys – Omaveloxolon – wirkt. Es wurde jedoch nachgewiesen, dass es den Nrf2-Signalweg aktiviert, der den Zellen hilft, auf oxidativen Stress zu reagieren (eine Erkrankung, die auftreten kann, wenn es zu viele freie Radikale im Körper gibt und nicht genügend Antioxidantien, um sie zu beseitigen, was zu Zell- und Gewebeschäden führen kann). Die Konzentrationen und die Aktivität des Nrf2 scheinen bei Patienten mit Friedreich-Ataxie geringer zu sein.

---

**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



## **Welchen Nutzen hat Skyclarys in den Studien gezeigt?**

In einer Hauptstudie, an der 103 Patienten mit Friedreich-Ataxie im Alter zwischen 16 und 40 Jahren teilnahmen, war Skyclarys bei der Verringerung körperlicher Beeinträchtigungen nach 48-wöchiger Behandlung wirksamer als Placebo (eine Scheinbehandlung).

Die modifizierte Friedreich-Ataxie-Bewertungsskala (mFARS), die aus einer Reihe von körperlichen Untersuchungen besteht, wurde zur Beurteilung der Schwere der neurologischen Symptome (mit den Nerven oder dem Nervensystem zusammenhängende Störungen) der Friedreich-Ataxie herangezogen. Wenn der mFARS-Score fällt, bedeutet dies, dass eine Verringerung der körperlichen Beeinträchtigung vorliegt.

Beim Hohlfuß (Pes cavus) handelt es sich um eine Fußfehlstellung, die oft als Komplikation der Friedreich-Ataxie gesehen wird. Da es keine standardisierte Methode zur Klassifizierung des Schweregrads des Hohlfußes gibt und angesichts der möglichen Auswirkungen der Erkrankung auf den mFARS-Score, wurden Patienten mit Hohlfuß nicht in die Primäranalysen einbezogen.

Bei 82 Patienten ohne Hohlfuß zeigte sich bei den Patienten, die Skyclarys erhielten, eine Verringerung des mFARS-Scores um etwa 1,6, verglichen mit einem Anstieg um etwa 0,9 bei den Patienten, die Placebo erhielten.

In der Studie wurden auch die Auswirkungen der Behandlung auf den FA-ADL-Score der Patienten bewertet. Dabei handelt es sich um eine Messgröße, mit der beurteilt wird, wie gut Menschen mit Friedreich-Ataxie alltäglichen Tätigkeiten nachgehen können (z. B. Anziehen, Waschen und Essen), wobei höhere Werte auf einen höheren Behinderungsgrad hindeuten. Bei den 82 Patienten ohne Hohlfuß zeigte sich bei den Patienten, die Skyclarys erhielten, eine Verringerung des FA-ADL-Scores um etwa 0,2, verglichen mit einem Anstieg um etwa 1,1 bei den Patienten, die Placebo erhielten.

## **Welche Risiken sind mit Skyclarys verbunden?**

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Skyclarys ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Skyclarys (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind erhöhte Konzentrationen von Leberenzymen (die als Alanin-Aminotransferase und Aspartat-Aminotransferase bezeichnet werden), Kopfschmerzen, Gewichtsverlust, Übelkeit, Erbrechen, Durchfall, Müdigkeit, Mund- und Rachenschmerzen, Rückenschmerzen, Muskelspasmen, Grippe und Appetitverlust.

## **Warum wurde Skyclarys in der EU zugelassen?**

Zum Zeitpunkt der Zulassung bestand ein signifikanter ungedeckter medizinischer Bedarf bei Patienten mit Friedreich-Ataxie, da keine anderen Arzneimittel für die Behandlung der Krankheit zugelassen waren. Es wurde nachgewiesen, dass Skyclarys Friedreich-Ataxie-Patienten Nutzen bringt. Obwohl im Zusammenhang mit der Hauptstudie Unsicherheiten bestanden, wie z. B. die geringe Anzahl von Patienten, der Ausschluss von Patienten mit schwerem Krankheitsverlauf (Patienten mit fortgeschrittener Herzerkrankung und Diabetes) und Komplikationen wie Hohlfuß (wie in der Studie definiert), war die Agentur der Auffassung, dass der beobachtete Nutzen auch für diese Patienten gilt. Insgesamt wurde das Sicherheitsprofil von Skyclarys angesichts der Tatsache, dass die Nebenwirkungen in der Hauptstudie im Allgemeinen leicht bis mittelschwer waren und meist innerhalb von zwei Monaten abklagen, als beherrschbar angesehen.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Skyclarys gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

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

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

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Skyclarys kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Skyclarys werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

### **Weitere Informationen über Skyclarys**

Weitere Informationen zu Skyclarys finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys).