



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (ομαβελοξολόνη)

Ανασκόπηση του Skyclarys και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Skyclarys και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Skyclarys είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται σε ασθενείς ηλικίας 16 ετών και άνω για τη θεραπεία της αταξίας του Friedreich, μιας κληρονομικής νόσου που προκαλεί βλάβη στο νευρικό σύστημα και έχει ως αποτέλεσμα δυσκολίες συντονισμού, ισορροπίας και κίνησης, κόπωση, δυσκολία στην ομιλία, καθώς και αυξημένο κίνδυνο καρδιομυοπάθειας (βλάβη στους μύες της καρδιάς) και διαβήτη.

Η αταξία του Friedreich είναι σπάνια ασθένεια και το Skyclarys χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 27 Ιουνίου 2018. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Skyclarys περιέχει τη δραστική ουσία ομαβελοξολόνη.

Πώς χρησιμοποιείται το Skyclarys;

Το Skyclarys χορηγείται μόνο με «ειδική» ιατρική συνταγή, που σημαίνει ότι χρησιμοποιείται υπό αυστηρότερους όρους από τους κανονικούς. Η έναρξη και η επίβλεψη του φαρμάκου πρέπει να πραγματοποιείται μόνο από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία ασθενών με αταξία του Friedreich.

Το φάρμακο διατίθεται σε μορφή καψακίων για χορήγηση από το στόμα μία φορά την ημέρα. Η δόση μπορεί να χρειαστεί να μειωθεί εάν ο ασθενής λαμβάνει άλλα φάρμακα που ονομάζονται «αναστολείς του CYP3A» και τα οποία θα μπορούσαν να επηρεάσουν τον τρόπο διάσπασης του Skyclarys στον οργανισμό.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Skyclarys, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Skyclarys;

Δεν είναι πλήρως κατανοητός ο τρόπος με τον οποίο δρα η δραστική ουσία του Skyclarys, η ομαβελοξολόνη. Ωστόσο, έχει αποδειχθεί ότι ενεργοποιεί το μονοπάτι Nrf2, το οποίο βοηθά τα κύτταρα να αντιδρούν στο οξειδωτικό στρες (κατάσταση που μπορεί να προκύψει όταν υπάρχει υπερβολικά μεγάλος αριθμός ελεύθερων ριζών στον οργανισμό και δεν επαρκούν τα αντιοξειδωτικά για την εξάλειψή τους, γεγονός που μπορεί να προκαλέσει βλάβες στα κύτταρα και τους ιστούς). Τα επίπεδα και η δραστηριότητα του Nrf2 φαίνεται να είναι μειωμένα στους ασθενείς με αταξία του Friedreich.

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



Ποια είναι τα οφέλη του Skyclarlys σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μια κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 103 ασθενείς με αταξία του Friedreich ηλικίας μεταξύ 16 και 40 ετών, το Skyclarlys ήταν αποτελεσματικότερο από το εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) στη μείωση της σωματικής δυσλειτουργίας μετά από 48 εβδομάδες θεραπείας.

Η Κλίμακα Αξιολόγησης της Αταξίας του Friedreich (mFARS), η οποία περιλαμβάνει μια σειρά αξιολογήσεων κλινικής εξέτασης, χρησιμοποιήθηκε για την αξιολόγηση της σοβαρότητας των νευρολογικών συμπτωμάτων (που συνδέονται με τα νεύρα ή το νευρικό σύστημα) της αταξίας του Friedreich. Εάν η βαθμολογία της mFARS μειωθεί, αυτό σημαίνει ότι υπάρχει μείωση της σωματικής δυσλειτουργίας.

Η κοιλοποδία είναι μια παραμόρφωση των ποδιών που συχνά παρατηρείται ως επιπλοκή της αταξίας του Friedreich. Δεδομένου ότι δεν υπάρχει τυποποιημένη μέθοδος για την ταξινόμηση της σοβαρότητας της κοιλοποδίας και λόγω του πιθανού αντίκτυπου της πάθησης στη βαθμολογία mFARS, οι ασθενείς με κοιλοποδία δεν συμπεριλήφθηκαν στις κύριες αναλύσεις.

Σε 82 ασθενείς χωρίς κοιλοποδία, οι ασθενείς που έλαβαν Skyclarlys παρουσίασαν μείωση κατά περίπου 1,6 μονάδες στη βαθμολογία στην κλίμακα mFARS σε σύγκριση με αύξηση κατά περίπου 0,9 μονάδες η οποία παρατηρήθηκε στους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Η μελέτη αξιολόγησε επίσης την επίδραση της θεραπείας στη βαθμολογία στην κλίμακα mFARS και στην κλίμακα Δραστηριοτήτων της Καθημερινότητας με την αταξία του Friedreich (FA-ADL) των ασθενών, ένα μέτρο που χρησιμοποιείται προκειμένου να αξιολογηθεί πόσο καλά μπορούν τα άτομα με αταξία του Friedreich να εκτελούν καθημερινές δραστηριότητες, όπως ντύσιμο, μπάνιο και σίτιση, με υψηλότερες βαθμολογίες να υποδεικνύουν υψηλότερα επίπεδα αναπηρίας. Από τους 82 ασθενείς χωρίς κοιλοποδία, οι ασθενείς που έλαβαν Skyclarlys παρουσίασαν μείωση της βαθμολογίας FA-ADL κατά περίπου 0,2 μονάδες σε σύγκριση με την αύξηση κατά περίπου 1,1 μονάδες που παρατηρήθηκε στους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Skyclarlys?;

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που έχουν αναφερθεί με το Skyclarlys, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Skyclarlys (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι αυξημένα επίπεδα ηπατικών ενζύμων (γνωστά ως αμινοτρανσφεράση της αλανίνης του ορού και ασπαρτική αμινοτρανσφεράση), κεφαλαλγία, μείωση του βάρους, αίσθημα αδιαθεσίας, έμετος, διάρροια, κόπωση, πόνος στο στόμα και στον φάρυγγα, οσφυαλγία, μυϊκοί σπασμοί, γρίπη και μειωμένη όρεξη.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Skyclarlys στην ΕΕ;

Κατά τον χρόνο της έγκρισης, υπήρχε σημαντική ανικανοποίητη ιατρική ανάγκη για ασθενείς με αταξία του Friedreich, δεδομένου ότι δεν υπήρχαν άλλα εγκεκριμένα φάρμακα για τη θεραπεία της νόσου. Το Skyclarlys αποδείχθηκε επωφελές για τους ασθενείς με αταξία του Friedreich. Μολονότι υπήρχαν αβεβαιότητες που συνδέονται με την κύρια μελέτη, όπως ο μικρός αριθμός ασθενών, ο αποκλεισμός των ασθενών με σοβαρές μορφές της νόσου (ασθενείς με προχωρημένη καρδιακή νόσο και διαβήτη) και επιπλοκές όπως η κοιλοποδία (όπως ορίζεται στη μελέτη), ο Οργανισμός έκρινε ότι τα οφέλη που διαπιστώθηκαν ισχύουν και για τους εν λόγω ασθενείς. Συνολικά, η εικόνα ασφάλειας του Skyclarlys θεωρήθηκε διαχειρίσιμη, δεδομένου ότι οι ανεπιθύμητες ενέργειες στην κύρια μελέτη ήταν γενικά ήπιες έως μέτριες σοβαρότητας και ως επί το πλείστον υποχώρησαν εντός δύο μηνών.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Skyclarys υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Skyclarys;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Skyclarys.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Skyclarys τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Skyclarys αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Skyclarys

Περισσότερες πληροφορίες για το Skyclarys διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys.