



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/294053/2021
EMA/H/C/003690

Skysona (автоложни CD34+ клетки, кодиращи ABCD1 гена)

Общ преглед на Skysona и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Skysona и за какво се използва?

Skysona е лекарство, което се използва за лечение на деца на възраст до 18 години с ранна церебрална адренолевкодистрофия (CALD). CALD е рядко наследствено заболяване, при което има промяна (мутация) в *ABCD1* гена. Мутацията предотвратява производството на ензим, наречен ALDP (адренолевкодистрофичен протеин), който разгражда мастни вещества в организма, наречени многодълговерижни мастни киселини (VLCFA). В резултат на това се натрупват VLCFA, които водят до възпаление и разрушаване на защитната обвивка (миелин), която изолира и подобрява функцията на нервните клетки. CALD се наблюдава почти изцяло при мъже.

Skysona се прилага, когато не е наличен донор за трансплантация на хемопоетични стволови клетки (процедура, при която костният мозък на пациента се изчиства от клетки и се заменя със здрави клетки от костен мозък).

Skysona е лекарствен продукт за напреднала терапия, наречен „генна терапия“. Този вид лекарство действа чрез въвеждане на гени в организма. Активното вещество в Skysona се състои от стволови клетки (CD34+ клетки), извлечени от собствения костен мозък или кръв на пациента, които са били модифицирани да съдържат копие на гена, за да се направи функционален ALDP и могат да се делят и да произвеждат други видове кръвни клетки.

CALD се счита за рядко заболяване и Skysona е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 13 април 2007 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121003>

Как се използва Skysona?

Skysona може да се прилага само на пациента, чиито клетки са използвани за приготвяне на лекарството. Прилага се под формата на инфузия (вливане) във вена и дозата зависи от телесното тегло на пациента. Няколко дни преди лечението се прилага друго лекарство, например бусулфан, като т.нар. режим на кондициониране, за да се изчистят старите костномозъчни клетки и да ги заменят с модифицираните клетки в Skysona.

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



Skysona се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се прилага само в специализиран център от лекар с опит в трансплантацията на хемопоетични стволови клетки и в лечението на пациенти с нарушения на нервната система.

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

Как действа Skysona?

За производството на Skysona от кръвта или от костния мозък се извличат CD34+ клетки (клетки, които могат да образуват бели кръвни клетки). Ген, който им позволява да произвеждат ALDP, се вкарва в CD34+ клетките, като се използва вирус, наречен лентивирус, който е генетично променен, за да носи гена за ALDP в клетките, без да причинява вирусно заболяване при хора.

След венозното му приложение Skysona се транспортира от кръвообращението в костния мозък, където CD34+ клетките започват да се размножават и да образуват нормални бели кръвни клетки, които могат да произвеждат ALDP. Тези бели кръвни клетки се разпространяват в организма и произвеждат ALDP, което помага за разграждането на мастните вещества в околните клетки и контролира симптомите на заболяването. Очаква се ефектите да продължат дълго.

Какви ползи от Skysona са установени в проучванията?

Ползите от Skysona за лечение на CALD са показани в едно основно проучване, обхващащо 30 момчета на възраст от 4 до 14 години с ранен CALD.

След две години 90 % от лекуваните момчета не са показали признаци на сериозно увреждане на нервите, например загуба на способност за говорене, загуба на способност за хранене, зависимост от инвалидна количка, слепота или инконтиненция. Това може да се сравни с 29 % при подобна група нелекувани момчета от отделно проучване.

Също така около 96 % от момчетата получават стабилен резултат от измерването на общата неврологична функция (стойност, измерваща способността на детето да извършва нормални движения като пълзене, изправяне и ходене) след две години. Налице са доказателства, че ползата продължава до 8 години.

Какви са рисковете, свързани със Skysona?

Най-честата нежелана реакция при Skysona (която може да засегне повече от 1 на 10 души) е панцитопения (понижен брой кръвни клетки).

За пълния списък на нежеланите реакции при Skysona вижте листовката.

Когато се използва Skysona, трябва да се вземат предвид ограниченията за кондициониращи и мобилизационни средства. За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

Защо Skysona е разрешен за употреба в ЕС?

Въз основа на резултатите от основно проучване е установено, че Skysona стабилизира заболяването чрез предотвратяване на по-нататъшно възпаление и унищожаване на миелина на нервните клетки при пациенти с CALD две години след лечението. Въпреки че полезните ефекти при Skysona продължават няколко години, все още не е ясно дали могат да се запазят през целия живот, затова е необходимо разширено проследяване. Тъй като CALD е рядко заболяване, проучванията са малки, а наличните данни за нежеланите реакции са ограничени и се нуждаят от дългосрочно проследяване. Въпреки това наблюдаваните досега нежелани реакции съответстват

на очакваните за този вид лечение. Предвид сериозността на заболяването и липсата на съществуващи лечения Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от Skysona 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 Skysona?

Фирмата, която предлага Skysona, ще проведе и предостави резултатите от две дългосрочни проучвания, за да предостави допълнителна информация за ползите и безопасността на лекарството. Освен това фирмата ще предостави обучителни материали за медицинските специалисти и пациентите или техните болногледачи относно това как да се използва Skysona и как да се наблюдават пациентите. Пациентите ще получат също сигнална карта за пациента, която трябва да показват при получаване на здравно обслужване.

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

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

Допълнителна информация за Skysona:

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