



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skysona (*autologní CD34+ buňky kódující gen ABCD1*)

Přehled pro přípravek Skysona a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Skysona a k čemu se používá?

Skysona je léčivý přípravek používaný k léčbě dětí mladších 18 let s časnou mozkovou adrenoleukodystrofií. Mozková adrenoleukodystrofie je vzácné dědičné onemocnění, při kterém dochází ke změně (mutaci) v genu *ABCD1*. Tato mutace brání tvorbě enzymu zvaného ALDP (adrenoleukodystrofický protein), který v těle odbourává mastné látky nazývané mastné kyseliny s velmi dlouhým řetězcem. V důsledku toho dochází k hromadění těchto mastných kyselin, což vede k zánětu a poškození ochranné vrstvy (myelinu), která chrání nervy a zlepšuje jejich fungování. Mozková adrenoleukodystrofie se vyskytuje téměř výhradně u mužů.

Přípravek Skysona se podává v případě, že není k dispozici dárce pro transplantaci hematopoetických kmenových buněk (postupu, při kterém jsou z kostní dřeně pacienta odstraněny buňky a jsou nahrazeny zdravými buňkami kostní dřeně).

Přípravek Skysona je druh léčivého přípravku pro moderní terapie označovaný jako „přípravek pro genovou terapii“. Jedná se o druh léčivého přípravku, který působí tak, že do těla dodává geny. Léčivou látkou Skysona jsou kmenové buňky (CD34+ buňky) získané z kostní dřeně nebo krve pacienta, které byly upraveny tak, aby obsahovaly kopii genu a mohly tak vytvářet funkční ALDP a dokázaly se dělit za účelem tvorby jiných druhů krvinek.

Mozková adrenoleukodystrofie je vzácné onemocnění a přípravek Skysona byl označen dne 13. dubna 2007 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121003>

Jak se přípravek Skysona používá?

Přípravek Skysona lze podat pouze tomu pacientovi, jehož buňky byly použity k jeho přípravě. Jedná se o jednorázovou léčbu. Přípravek se podává formou infuze (kapání) do žíly a dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta. Několik dní před podáním přípravku se v rámci tzv. přípravného režimu před léčbou podá jiné léčivo, například busulfan, a to za účelem odstranění stávajících buněk kostní dřeně a jejich nahrazení upravenými buňkami obsaženými v přípravku Skysona.

Výdej přípravku Skysona je vázán na lékařský předpis. Měl by být podán pouze ve specializovaném středisku lékařem, který má zkušenosti s transplantací hematopoetických kmenových buněk a léčbou pacientů s poruchami nervového systému.

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



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

Jak přípravek Skysona působí?

Za účelem přípravy přípravku Skysona jsou z krve nebo kostní dřeně odebrány CD34+ buňky (buňky, které dokáží vytvářet bílé krvinky). Do CD34+ buněk je vložen gen, který jim umožňuje tvorbu ALDP, a to pomocí druhu viru zvaného lentivirus, jež byl geneticky pozměněn tak, aby přenášel gen ALDP do buněk, aniž by u lidí způsobil virové onemocnění.

Po podání zpět do žíly pacienta je přípravek Skysona přepraven krevním oběhem do kostní dřeně, kde CD34+ buňky začnou růst a vytvářet normální bílé krvinky, které mohou produkovat ALDP. Tyto bílé krvinky se rozšíří v těle a vytvářejí ALDP, což pomáhá odbourávat mastné látky v okolních buňkách a kontrolovat příznaky onemocnění. Očekává se, že tyto účinky jsou dlouhodobé.

Jaké přínosy přípravku Skysona byly prokázány v průběhu studií?

Přínosy přípravku Skysona při léčbě mozkové adrenoleukodystrofie byly prokázány v hlavní studii, do které bylo zařazeno 30 chlapců ve věku od 4 do 14 let s časnou mozkovou adrenoleukodystrofií.

Po dvou letech 90 % léčených chlapců nevykazovalo žádné známky závažného poškození nervů, jako je ztráta schopnosti mluvit, ztráta schopnosti sami přijímat potravu, závislost na invalidním vozíku, slepota nebo inkontinence. Tohoto výsledku bylo pro srovnání dosaženo u 29 % neléčených chlapců v podobné skupině v rámci jiné studie.

Přibližně 96 % chlapců také po dvou letech vykazovalo stabilní skóre neurologických funkcí (hodnotu měřící vývoj schopnosti dítěte normálně se pohybovat, např. lézt, stát a chodit). Bylo doloženo, že přínos přetrvává po dobu až 8 let.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Skysona?

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Skysona (který může postihnout více než 1 osobu z 10) je pancytopenie (nízký počet krvinek).

Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Skysona je uveden v příbalové informaci.

Při užívání přípravku Skysona je třeba vzít v úvahu omezení týkající se přípravného režimu před léčbou a mobilizačních přípravků. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Skysona registrován v EU?

Na základě výsledků hlavní studie bylo prokázáno, že přípravek Skysona u pacientů s mozkovou adrenoleukodystrofií dva roky po léčbě stabilizuje toto onemocnění tím, že zabraňuje dalšímu zánětu a ničení myelinu nervových buněk. Ačkoli příznivé účinky přípravku Skysona přetrvávaly po dobu několika let, není stále jasné, zda mají celoživotní trvání, a je tudíž zapotřebí delší sledování. Jelikož mozková adrenoleukodystrofie je vzácné onemocnění, studie jsou malého rozsahu a dostupné údaje o nežádoucích účincích jsou omezené. Bude tedy také zapotřebí dlouhodobé sledování nežádoucích účinků. Dosud zaznamenané nežádoucí účinky však odpovídaly těm, které se u tohoto typu léčby očekávají. Vzhledem k závažnosti onemocnění a nedostatku stávajících možností léčby Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Skysona převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Skysona?

Společnost, která přípravek Skysona dodává na trh, provede dvě dlouhodobé studie a předloží jejich výsledky, aby poskytla další informace o přínosech a bezpečnosti tohoto přípravku. Společnost navíc poskytne zdravotnickým pracovníkům a pacientům nebo osobám, které o ně pečují, edukační materiály s informacemi o tom, jak přípravek Skysona používat a jak pacienty sledovat. Pacienti rovněž obdrží kartu pacienta s informacemi o léčbě, kterou je třeba ukázat, když je jim poskytována zdravotní péče.

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

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Skysona průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Skysona jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Skysona

Další informace o přípravku Skysona jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skysona