



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skysona (*autologe CD34+-celler, der koder for ABCD1-genet*)

Oversigt over Skysona, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Skysona, og hvad anvendes det til?

Skysona er et lægemiddel, der anvendes til behandling af børn under 18 år med tidlig cerebral adrenoleukodystrofi (CALD). CALD er en sjælden, arvelig lidelse, der medfører en ændring (mutation) i *ABCD1*-genet. Mutationen forhindrer dannelsen af et enzym kaldet ALDP (adrenoleukodystrofiprotein), som nedbryder fedtstoffer i kroppen kaldet meget langkædede fedtsyrer (VLCFA'er). Dette medfører, at VLCFA'er ophober sig og fører til betændelse i og nedbrydning af den beskyttende skede (myelinskeden), der isolerer nerverne og forbedrer deres funktion. CALD er næsten udelukkende en mandlig lidelse.

Skysona gives, når der ikke findes en donor til hæmopoietisk stamcelletransplantation (en procedure, hvor patientens egne knoglemarvsceller erstattes med sunde knoglemarvsceller).

Skysona er en type lægemiddel til avanceret behandling, som kaldes "genterapi". Denne type lægemiddel virker ved at indføre gener i kroppen. Det aktive stof i Skysona består af stamceller (CD34+-celler), som stammer fra patientens egen knoglemarv eller blod, og som er blevet ændret, så de indeholder en kopi af genet til at frembringe et funktionelt ALDP og kan dele sig for at danne andre slags blodceller.

CALD er sjælden, og Skysona blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 13. april 2007. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her:

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

Hvordan anvendes Skysona?

Skysona må kun gives til den patient, hvis celler blev anvendt til at fremstille lægemidlet. Det gives som en enkelt behandling ved infusion (drop) i en vene, og dosis afhænger af patientens vægt. Nogle dage før behandlingen gives et andet lægemiddel, f.eks. busulfan, som en såkaldt konditioneringsbehandling for at fjerne eksisterende knoglemarvsceller og erstatte dem med de modificerede celler i 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 fås kun på recept, og behandlingen bør kun gives på et specialiseret center af en læge, der har erfaring med hæmopoietisk stamcelletransplantation og behandling af patienter med nervebetændelse.

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

Hvordan virker Skysona?

For at fremstille Skysona udtages CD34+-cellerne (celler, der kan producere hvide blodlegemer) fra blodet eller knoglemarven. Et gen til fremstilling af ALDP indsættes i CD34+-cellerne ved hjælp af en type virus kaldet et lentivirus, der er blevet genetisk ændret, så det bærer ALDP-genet ind i cellerne uden at medføre virussygdom hos mennesker.

Når det er blevet indgivet i patientens vene, transporteres Skysona via blodbanen til knoglemarven, hvor CD34+-cellerne begynder at vokse og danne normale hvide blodlegemer, der kan producere ALDP. Disse hvide blodlegemer spreder sig i kroppen og danner ALDP, som er med til at nedbryde fedtstofferne i de omgivende celler og holde symptomerne på sygdommen under kontrol. Virkningerne forventes at være langvarige.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Skysona?

Fordelene ved Skysona som behandling for CALD blev påvist i et hovedstudie med deltagelse af 30 drenge i alderen 4-14 år med tidlig CALD.

Efter to år udviste 90 % af de behandlede drenge ingen tegn på større nervebeskadigelse, såsom manglende evne til at tale eller spise selv, kørestolsafhængighed, blindhed eller inkontinens. I en tilsvarende gruppe af ubehandlede drenge fra et separat studie var andelen 29 %.

Ca. 96 % af drengene havde også en stabil score for neurologisk bruttofunktion (en måleværdi for evnen hos et barn i udviklingsalderen til at bevæge sig normalt, f.eks. at kravle, stå og gå) efter to år. Der var tegn på fortsat virkning efter op til otte år.

Hvilke risici er der forbundet med Skysona?

De hyppigste bivirkninger ved Skysona (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er pancytopeni (lavt antal blodlegemer).

Den fuldstændige liste over bivirkninger ved Skysona fremgår af indlægssedlen.

Når Skysona anvendes, skal der tages hensyn til begrænsningerne ved midler til konditionering og mobilisering. Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Skysona godkendt i EU?

Af et hovedstudie fremgår det, at Skysona stabiliserer sygdommen ved at forhindre yderligere betændelse i og nedbrydning af myelinskeden omkring nervecellerne hos patienter med CALD to år efter behandlingen. Selv om de gavnlige virkninger af Skysona varede i flere år, står det endnu ikke klart, om de er livsvarige, og der er behov for yderligere opfølgning. Da CALD er en sjælden sygdom, er studierne små, og de foreliggende data om bivirkninger er begrænsede og kræver også langtidsopfølgning. De bivirkninger, der er set indtil nu, svarer imidlertid til dem, der forventes ved denne type behandling. Fordi sygdommen er alvorlig, og der er mangel på behandlinger, besluttede Det Europæiske Lægemiddelagentur, at fordelene ved Skysona opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Skysona?

Virksomheden, der markedsfører Skysona, vil gennemføre og fremlægge resultaterne af to langsigtede studier for at tilvejebringe yderligere viden om lægemidlets fordele og sikkerhed. Virksomheden vil desuden udlevere oplysningsmateriale til sundhedspersoner og patienter eller omsorgsgivere om, hvordan Skysona skal anvendes, og hvordan patienterne bør overvåges. Patienterne vil også få udleveret et patientkort om deres behandling, som de skal vise, når de modtager sundhedspleje.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Skysona.

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

Andre oplysninger om Skysona

Yderligere information om Skysona findes på agenturets websted under:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skysona

Lægemidlet er ikke længere autoriseret