



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skysona (*ABCD1*-geeniä koodaavat autologiset CD34⁺-solut)

Yleistiedot Skysonasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Skysona on ja mihin sitä käytetään?

Skysona on lääke, jolla hoidetaan alle 18-vuotiaita lapsia, joilla on varhaisvaiheessa oleva aivojen adrenoleukodystrofia (CALD). CALD on harvinainen perinnöllinen sairaus, jossa *ABCD1*-geenissä on muutos (mutaatio). Tämä mutaatio estää ALDP-nimisen entsyymien (adrenoleukodystrofiaproteiini) tuotantoa. ALDP hajottaa kehon rasva-aineita, joita kutsutaan hyvin pitkäketjuisiksi rasvahapoiksi (VLCFA). Tämän seurauksena hyvin pitkäketjuiset rasvahapot kertyvät elimistöön ja aiheuttavat tulehdusta ja vaurioita hermojen suojakuoressa (myeliinissä), joka eristää hermoja ja parantaa niiden toimintaa. Aivojen adrenoleukodystrofiaa esiintyy lähes yksinomaan miehillä.

Skysonaa annetaan, kun luovuttajaa ei ole saatavilla hematopoieettista kantasolusiirtoa varten (toimenpide, jossa potilaan luuydin puhdistetaan soluista ja ne korvataan terveillä luuydinsoluilla).

Skysona on pitkälle kehittyneissä hoidoissa käytettävä geeniterapiavalmiste. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla geenejä elimistöön. Skysonan vaikuttava aine on valmistettu kantasoluista (CD34⁺-solut), jotka on saatu potilaan omasta luuytimeistä tai verestä. Kantasoluja on muunneltu siten, että ne sisältävät kopion geenistä, jolla valmistetaan toimivaa ALDP-entsyymiä, ja ne voivat jakautua muuntotyypisten versolujen tuottamista varten.

CALD on harvinainen sairaus, ja Skysona nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 13. huhtikuuta 2007. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy osoitteesta : <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121003>

Miten Skysonaa käytetään?

Skysonaa voidaan antaa vain sille potilaalle, jonka soluja on käytetty lääkkeen valmistamiseen. Sitä annetaan kertainfuusiona (tiputuksena) laskimoon, ja annostus määräytyy potilaan painon mukaan. Muutama päivä ennen hoitoa potilaalle annetaan toista lääkettä, esimerkiksi busulfaania, nk. esihoidona. Esihoidolla luuytimeistä poistetaan solut ja ne korvataan Skysonan muunnelluilla soluilla.

Skysonaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa antaa vain erikoissairaanhoidossa lääkäri, jolla on kokemusta hematopoieettisesta kantasolusiirrosta ja hermostosairauksien hoidosta.

Lisätietoja Skysonan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

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



Miten Skysona vaikuttaa?

Skysonan valmistamiseksi verestä tai luuytimestä kerätään CD34+-soluja (veren valkosoluja valmistavia soluja). CD34+-soluihin siirretään geeni, jonka avulla solut voivat tuottaa ALDP-entsyymiä, käyttämällä lentivirusta, jota on muunneltu geneettisesti siten, että se kuljettaa ALDP-geenin soluihin aiheuttamatta ihmiselle virussairautta.

Kun solut siirretään takaisin potilaalle laskimon kautta, Skysona kulkeutuu verenkierron mukana luuytimeen, jossa CD34+-solut alkavat kasvaa ja muodostaa normaaleja valkosoluja, jotka voivat tuottaa toimivaa ALDP-entsyymiä. Nämä valkosolut leviävät elimistöön ja tuottavat ALDP-entsyymiä, joka auttaa hajottamaan ympäröivien solujen rasva-aineita ja hallitsemaan sairauden oireita. Vaikutusten odotetaan olevan pitkäkestoisia.

Mitä hyötyä Skysonasta on havaittu tutkimuksissa?

Skysonan hyöty aivojen adrenoleukodystrofian hoidossa osoitettiin päätutkimuksessa, johon osallistui 30 iältään 4–14-vuotiasta poikaa, jotka sairastivat varhaisvaiheen adrenoleukodystrofiaa.

Kahden vuoden kuluttua 90 prosentilla hoidetuista pojista ei ollut merkkejä suurista hermovaurioista, kuten puhekyvyn menetyksestä, ruokailukyvyn heikkenemisestä, pyörätuolin tarpeesta, sokeudesta tai inkontinenssista. Tätä voidaan verrata 29 prosenttiin samanlaisessa hoitamattomien poikien ryhmässä, joka osallistui erilliseen tutkimukseen.

Lisäksi noin 96 prosentille pojista saatiin kahden vuoden kuluttua vakaa neurologisen toiminnan kokonaispistemäärä (arvo, jolla mitataan kehittyvän lapsen kykyä tehdä tavanomaisia liikkeitä, kuten ryömiä, seisoa ja kävellä). On näyttöä siitä, että hyöty jatkui vielä 8 vuoden jälkeenkin.

Mitä riskejä Skysonaan liittyy?

Skysonan yleisin haittavaikutus (jota saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) on pansytopenia (verisolujen vähäisyys).

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Skysonan haittavaikutuksista.

Skysonaa käytettäessä on otettava huomioon esihoitoa ja mobilisoinnissa käytettäviä valmisteita koskevat rajoitukset. Pakkauselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

Miksi Skysona on hyväksytty EU:ssa?

Skysonan osoitettiin vakauttavan sairautta estämällä lisätulehdusta ja hermosolujen myeliinin tuhoutumista CALD-potilailla kaksi vuotta hoidon jälkeen päätutkimuksen tulosten perusteella. Vaikka Skysonan suotuisat vaikutukset kestivät useita vuosia, vielä ei ole selvää, voivatko ne kestää läpi elämän. Tämän vuoksi tarvitaan pitempiaikaista seurantaa. Koska CALD on harvinainen sairaus, tutkimukset ovat pieniä ja haittavaikutuksista on saatavilla vain vähän tietoa. Sen vuoksi tarvitaan pitkäaikaista seurantaa. Tähän mennessä havaitut haittavaikutukset vastaavat kuitenkin tämälntyyppiseltä valmisteelta odotettavia haittavaikutuksia. Koska sairaus on vakava ja sille ei ole olemassa riittävästi muita hoitovaihtoehtoja, Euroopan lääkevirasto katsoi, että Skysonan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Skysonan turvallinen ja tehokas käyttö?

Skysonaa markkinoiva yhtiö tekee kaksi pitkäaikaista tutkimusta ja toimittaa niiden tulokset lisätietojen saamiseksi lääkkeen hyödyistä ja turvallisuudesta. Lisäksi yhtiö toimittaa terveydenhuollon

ammattilaisille ja potilaille tai heidän hoitajilleen perehdytysmateriaalia siitä, miten Skysonaa käytetään ja miten potilaita tulee seurata. Potilaat saavat myös terveydenhuoltoa varten potilaskortin, jossa kerrotaan hoidosta.

Suosituksset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Skysonan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Skysonan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Skysonasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Skysonasta

Lisää tietoa Skysonasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa:

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

Lääkevalmisteella ei ole enää myyntilupaa