



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skysona (*autologne CD34+ stanice koje kodiraju gen ABCD1*)

Pregled informacija o lijeku Skysona i zašto je odobren u EU-u

Što je Skysona i za što se koristi?

Skysona je lijek za liječenje djece mlađe od 18 godina s ranom cerebralnom adrenoleukodistrofijom (CALD). CALD je rijedak nasljedni poremećaj kod kojeg dolazi do promjene (mutacije) gena *ABCD1*. Mutacija sprječava proizvodnju enzima ALDP (za bjelančevinu adrenoleukodistrofije) koji razgrađuje masne tvari u organizmu naziva masne kiseline vrlo dugih lanaca (VLCFA). Kao rezultat toga, kiseline VLCFA se nakupljaju i dovode do upale i uništavanja zaštitne ovojnice (mijelina) koji izolira i poboljšava način na koji živci funkcioniraju. CALD se javlja gotovo isključivo u muškaraca.

Skysona se primjenjuje kada darivatelj za transplantaciju hematopoetskih matičnih stanica (postupak u kojem se koštana srž bolesnika očisti od stanica i zamijeni zdravim stanicama koštane srži) nije dostupan.

Skysona je vrsta lijeka za naprednu terapiju naziva „genska terapija“. Riječ je o vrsti lijeka koja djeluje unosom gena u tijelo. Djelatnu tvar lijeka Skysona čine matične stanice (stanice CD34+) dobivene iz bolesnikove koštane srži ili krvi koje su modificirane kako bi sadržavale kopiju gena za stvaranje funkcionalnog ALDP-a i mogu se dijeliti kako bi se proizvele druge vrste krvnih stanica.

CALD je rijetka bolest, a lijek Skysona dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 13. travnja 2007. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

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

Kako se Skysona primjenjuje?

Skysona se može primjenjivati samo u bolesnika čije su stanice korištene za pripremu lijeka. Radi se o jednokratnoj terapiji koja se primjenjuje infuzijom (ukapavanjem) u venu, a doza ovisi o tjelesnoj težini bolesnika. Nekoliko dana prije liječenja, drugi lijek, kao što je busulfan, daje se kao pripremna terapija za uklanjanje postojećih stanica koštane srži i njihovu zamjenu modificiranim stanicama u lijeku Skysona.

Skysona se izdaje samo na recept, a liječenje u specijalističkom centru smije provoditi samo liječnik s iskustvom u transplantaciji hematopoetskih matičnih stanica i liječenju bolesnika s poremećajima živčanog sustava.

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



Za više informacija o primjeni lijeka Skysona pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Skysona?

Kako bi se proizveo lijek Skysona, stanice CD34+ (stanice koje mogu proizvoditi bijele krvne stanice) ekstrahiraju se iz krvi ili koštane srži. Gen koji im omogućuje proizvodnju ALDP-a umeće se u stanice CD34+ s pomoću vrste virusa naziva lentivirus, koji je genetski modificiran kako bi prenosio gen ALDP u stanice, a da pritom ne uzrokuje virusnu bolest u ljudi.

Nakon što se primijeni u venu bolesnika, lijek Skysona se krvotokom prenosi do koštane srži gdje stanice CD34+ počnu rasti i proizvoditi normalne bijele krvne stanice koje mogu proizvesti ALDP. Te se bijele krvne stanice šire u organizmu i proizvode ALDP, koji pomaže u razgradnji masnih tvari u okolnim stanicama i kontroli simptoma bolesti. Očekuju se dugotrajni učinci lijeka.

Koje su koristi od lijeka Skysona utvrđene u ispitivanjima?

Koristi od lijeka Skysona u liječenju CALD-a utvrđene su u glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 30 dječaka u dobi od 4 do 14 godina s ranim CALD-om.

Nakon dvije godine, 90 % liječenih dječaka nije pokazivalo znakove većih oštećenja živaca, kao što su gubitak sposobnosti govora, gubitak sposobnosti da se sami hrane, ovisnost o invalidskim kolicima, sljepoća ili inkontinencija. To se može usporediti s 29 % u sličnoj skupini neliječenih dječaka iz zasebnog ispitivanja.

Nadalje, kod otprilike 96 % dječaka došlo je do stabilnog rezultata neurološke funkcije (vrijednosti kojom se mjeri sposobnost djeteta u razvoju da napravi normalne pokrete kao što su puzanje, stajanje i hodanje) nakon dvije godine. Postoje dokazi o kontinuiranoj koristi u razdoblju do osam godina.

Koji su rizici povezani s lijekom Skysona?

Najčešća nuspojava lijeka Skysona (koja se može javiti u više od 1 na 10 osoba) jest pancitopenija (nizak broj krvnih stanica).

Potpuni popis zabilježenih nuspojava povezanih s lijekom Skysona potražite u uputi o lijeku.

Pri primjeni lijeka Skysona potrebno je uzeti u obzir ograničenja lijekova za kondicioniranje i mobilizaciju. Potpuni popis ograničenja povezanih s primjenom potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Skysona odobren u EU-u?

Na temelju rezultata glavnog ispitivanja utvrđeno je da lijek Skysona stabilizira bolest sprječavanjem daljnje upale i uništavanja mijelina živčanih stanica u bolesnika s CALD-om dvije godine nakon liječenja. Iako su povoljni učinci lijeka Skysona trajali nekoliko godina, još nije jasno mogu li se zadržati cijeli život te je potrebno dugoročno praćenje. Budući da je CALD rijetka bolest, ispitivanja su mala, a dostupni podatci o nuspojavama ograničeni su te je potrebno dugoročno praćenje. Međutim, dosad zabilježene nuspojave bile su u skladu s onima koje se očekuju za tu vrstu liječenja. S obzirom na težinu stanja i nedostatak drugih terapija, Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Skysona nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Skysona?

Tvrtka koja stavlja lijek Skysona u promet provest će i dostaviti rezultate dvaju dugoročnih ispitivanja kako bi se pružile dodatne informacije o koristima i sigurnosti primjene lijeka. Osim toga, tvrtka će dostaviti materijale za obuku zdravstvenim radnicima i bolesnicima ili njihovim pružateljima skrbi o načinu primjene lijeka Skysona i načinu praćenja bolesnika. Bolesnici će dobiti i karticu s upozorenjima za svoju terapiju koju trebaju pokazati kada primaju zdravstvenu skrb.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Skysona također se nalaze u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Skysona kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Skysona pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Skysona

Više informacija o lijeku Skysona dostupno je na službenim stranicama Agencije:

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

Lijek koji više nije odobren