



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skysona (autologinės CD34⁺ ląstelės, koduojančios ABCD1 geną)

Skysona apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Skysona ir kam jis vartojamas?

Skysona – tai vaistas, kuriuo gydomi jaunesni nei 18 metų vaikai, sergantys ankstyvąja smegenų adrenoleukodistrofija (CALD). CALD yra reta paveldima liga, kai pakinta (mutuoja) *ABCD1* genas. Ši mutacija neleidžia gaminti fermento – adrenoleukodistrofijos baltymo – ALDP, kuris žmogaus organizme skaido riebalų medžiagas, vadinamas labai ilgos grandinės riebalų rūgštimis – VLCFA. Dėl to VLCFA kaupiasi ir sukelia uždegimą bei suardo apsauginį (mielin) dangalą, kuris izoliuoja ir pagerina nervų funkciją. CALD pasireiškia beveik tik vyrams.

Skysona skiriamas, kai nėra donoro hematopoetinių kamieninių ląstelių persodinimui (procedūra, kai iš paciento kaulų čiulpų pašalinamos ląstelės ir jos pakeičiamos sveikomis kaulų čiulpų ląstelėmis).

Skysona yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis „genų terapijos vaistas“. Tai vaistai, pernešantys genus į organizmą. Veiklioji Skysona medžiaga yra iš paties paciento kaulų čiulpų arba kraujo išskirtos kamieninės ląstelės (CD34⁺ ląstelės), kurios buvo modifikuotos taip, kad turėtų geno kopiją funkciniam ALDP gaminti ir galėtų dalytis, kad gamintų kitų rūšių kraujo ląsteles.

CALD laikoma reta liga, todėl 2007 m. balandžio 13 d. Skysona buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121003>

Kaip vartoti Skysona?

Skysona galima skirti tik tiems pacientams, kurių ląstelės buvo naudojamos vaistui pagaminti. Pacientui skiriama viena infuzija (vaistas leidžiamas lašelinės infuzijos būdu) į veną ir dozė priklauso nuo paciento svorio. Likus kelioms dienoms iki gydymo esamoms kaulų čiulpų ląstelėms išnaikinti ir pakeisti modifikuotomis Skysona ląstelėmis, skiriamas kitas, vadinamasis kondicionavimo vaistas, pvz., busulfanas.

Skysona galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą specializuotame gydymo centre atlieka gydytojas, turintis hematopoetinių kamieninių ląstelių persodinimo ir nervų sistemos ligų gydymo patirties.

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



Daugiau informacijos apie Skysona vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Skysona?

Skysona pagaminti iš kraujo arba kaulų čiulpų išskiriamos CD34⁺ ląstelės (galinčios gaminti baltąsias kraujo ląsteles). Į CD34⁺ ląsteles įterpiamas genas, leidžiantis joms gaminti ALDP; tai daroma naudojant virusą, vadinamą lentivirusu, kuris yra genetiškai modifikuotas, kad perneštų ALDP geną į ląsteles, nesukeldamas žmonėms virusinės ligos.

Suleistas į paciento veną, Skysona su krauju nukeliauja į kaulų čiulpus, kur pradeda augti CD34⁺ ląstelės, pagaminančios normalių baltųjų ląstelių, kurios gali gaminti ALDP. Šios baltosios kraujo ląstelės išplinta po organizmą ir gamina ALDP, kuris padeda suskaidyti riebalines medžiagas aplinkinėse ląstelėse ir kontroliuoti ligos simptomus. Tikimasi, kad šio vaisto poveikis bus ilgalaikis.

Kokia Skysona nauda nustatyta tyrimų metu?

Skysona nauda gydant CALD įrodyta pagrindiniame tyrime, kuris atliktas su 30 4–14 metų amžiaus berniukų su ankstyvąja CALD.

Po dvejų metų 90 proc. gydytų berniukų nenustatyta jokių didelių nervų pažeidimų požymių, tokių kaip prarastas gebėjimas kalbėti arba maitintis, priklausomybė nuo neigaliųjų vežimėlio, aklumas arba šlapimo nelaikymas. Kitame tyrime toks poveikis nustatytas 29 proc. panašioje negydytų berniukų grupėje.

Be to, po dvejų metų maždaug 96 proc. berniukų nustatytas stabilus neurologinės funkcijos įvertis (besivystančio vaiko gebėjimo normaliai judėti, pvz., ropoti, stovėti ir vaikščioti, rodiklis). Įrodyta, kad vaisto nauda išlieka iki 8 metų.

Kokia rizika susijusi su Skysona vartojimu?

Dažniausias Skysona šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra pancitopenija (sumažėjęs kraujo ląstelių kiekis).

Išsamų visų Skysona šalutinio poveikio reiškinių sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Taikant gydymą Skysona reikia atsižvelgti į kondicionavimo ir mobilizavimo medžiagų naudojimui taikomus apribojimus. Išsamų visų apribojimų sąrašą rasite pakuotės lapelyje.

Kodėl Skysona buvo registruotas ES?

Remiantis pagrindinio tyrimo rezultatais nustatyta, kad Skysona padeda stabilizuoti CALD ligą – dvejus metus po gydymo jis neleidžia vystytis uždegimui ir irti nervinių ląstelių mielino dangalui. Nors teigiamas Skysona poveikis išsilaiškė keletą metų, dar neaišku, ar jis gali išlikti visą gyvenimą, todėl pacientą reikia toliau stebėti. Kadangi CALD yra reta liga, jos tyrimai nedideli, duomenų apie šalutinį poveikį turima nedaug ir juos reikės stebėti ilgiau. Tačiau lig šiol nustatyti šalutinio poveikio reiškiniai atitiko tokiam gydymui tikėtiną šalutinį poveikį. Atsižvelgdama į tai, kad liga sunki, ir kad kol kas trūksta priemonių jai gydyti, Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Skysona nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Skysona vartojimą?

Skysona prekiaujanti bendrovė atliks ir pateiks dviejų ilgalaikių tyrimų rezultatus, kad suteiktų daugiau informacijos apie vaisto naudą ir saugumą. Be to, bendrovė sveikatos priežiūros specialistams ir pacientams arba jų slaugytojams pateiks mokomąją medžiagą apie tai, kaip vartoti Skysona ir kaip stebėti pacientus. Pacientai taip pat gaus paciento įspėjimą kortelę apie gydymą, kurią jie turės parodyti kreipdamiesi sveikatos priežiūros paslaugų.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Skysona vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Skysona vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Skysona šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Skysona

Daugiau informacijos apie Skysona rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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

Neberegistruotas vaistinis preparatas