



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skysona (*autologas CD34+ šūnas, kas kodē ABCD1 gēnu*) Skysona pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Skysona un kāpēc tās lieto?

Skysona ir zāles, ko lieto, lai ārstētu bērnus līdz 18 gadu vecumam ar agrīnu cerebrālo adrenoleikodistrofiju (CALD). CALD ir reta iedzimta slimība, kad rodas izmaiņas (mutācija) *ABCD1* gēnā. Mutācija neļauj veidoties fermentam ALDP (adrenoleikodistrofijas proteīnam), kas organismā noārda taukainās vielas, kuras dēvē par ļoti garas ķēdes taukskābēm (*VLCFA*). Tā rezultātā *VLCFA* uzkrājas un izraisa tāda aizsargapvalka (mielīna) iekaisumu un iznīcināšanu, kas izolē un uzlabo nervu darbību. CALD novēro gandrīz tikai vīriešiem.

Skysona tiek ievadīta tad, kad nav pieejams asinsrades cilmes šūnu transplantācijai paredzēts donors (procedūra, kurā no pacienta kaulu smadzenēm iztīra šūnas un aizstāj ar veselām kaulu smadzeņu šūnām).

Skysona ir uzlabotās terapijas zāļu veids, ko sauc par „gēnu terapiju”. Tas ir zāļu veids, kas darbojas, piegādājot organismam gēnus. *Skysona* aktīvā viela ir izgatavota no cilmes šūnām (CD34+ šūnām), kas iegūtas no paša pacienta kaulu smadzenēm vai asinīm un ir pārveidotas, lai saturētu gēna kopiju funkcionālas ALDP iegūšanai, un var dalīties, lai ražotu citus asins šūnu veidus.

CALD ir “reta”, un 2007. gada 13. aprīlī *Skysona* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama šeit: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121003>

Kā lieto *Skysona*?

Skysona var ievadīt tikai pacientam, kura šūnas izmantotas zāļu pagatavošanai. Tas ir vienreiz lietojams ārstēšanas līdzeklis, ko ievada vēnā kā infūziju (pilienu veidā), un ieteicamā deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas. Dažas dienas pirms ārstēšanas lieto citas zāles, piemēram, busulfānu, tā sauktā sagatavojošā terapijā, lai attīrītu esošās kaulu smadzeņu šūnas un aizstātu tās ar modificētajām *Skysona* šūnām.

Skysona var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšanu specializētā centrā drīkst veikt tikai ārsts ar pieredzi asinsrades cilmes šūnu transplantācijā un pacientu ar nervu sistēmas traucējumiem ārstēšanā.

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



Papildu informāciju par *Skysona* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Skysona* darbojas?

Lai pagatavotu *Skysona*, no asinīm vai kaulu smadzenēm ekstrahē CD34+ šūnas (šūnas, kas var ražot baltās asins šūnas). Ģēnu, kas viņiem ļauj ražot ALDP, iekļauj CD34+ šūnās, izmantojot vīrusa tipu, ko sauc par lentivīrusu un kas ir ģenētiski pārveidots, lai ALDP ģēnu pārnestu uz šūnām, neizraisot cilvēkiem vīrusu slimību.

Pēc ievadīšanas atpakaļ pacienta vēnā, *Skysona* asinsritē nonāk līdz kaulu smadzenēm, kur CD34+ šūnas sāk augt un veidot normālas baltās asins šūnas, kas var ražot ALDP. Šīs baltās asins šūnas izplatās visā organismā un producē ALDP, kas palīdz noārdīt taukainās vielas apkārtējās šūnās un kontrolēt slimības simptomus. Sagaidāms, ka iedarbība būs ilgstoša.

Kādi *Skysona* ieguvumi atklāti pētījumos?

Skysona ieguvumus CALD ārstēšanā pierādīja pamatpētījumā, iesaistot 30 zēnus vecumā no 4 līdz 14 gadiem ar agrīnu CALD.

Pēc diviem gadiem 90 % ārstēto zēnu nenovēroja nekādas būtisku nervu bojājumu pazīmes, piemēram, runas spējas zudumu, spējas uzņemt barību zudumu, atkarību no ratiņkrēsliem, aklumu vai urīna nesaturēšanu. To varēja salīdzināt ar 29 % līdzīgā neārstēto zēnu grupā atsevišķā pētījumā.

Turklāt aptuveni 96 % zēnu pēc diviem gadiem bija stabils bruto neiroloģisko funkciju rādītājs (vērtība, ar ko mēra augoša bērna spēju veikt normālas kustības, piemēram, rāpošanu, stāvēšanu un staigāšanu). Bija pierādījumi, ka ieguvums turpinās arī turpmāk līdz pat 8 gadiem.

Kāds risks pastāv, lietojot *Skysona*?

Visbiežākās *Skysona* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir pancitopēnija (mazs asins šūnu skaits).

Pilnu visu ziņoto blakusparādību sarakstu, lietojot *Skysona*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Lietojo *Skysona*, jāņem vērā ierobežojumi kondicionējošai terapijai un mobilizācijas līdzekļiem. Pilnu ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Skysona* ir reģistrētas ES?

Pamatojoties uz pamatpētījuma rezultātiem, tika pierādīts, ka *Skysona* stabilizē slimību, novēršot turpmāku iekaisumu un nervu šūnu mielīna iznīcināšanu pacientiem ar CALD divus gadus pēc ārstēšanas. Lai gan *Skysona* labvēlīgā ietekme ilga vairākus gadus, vēl nav skaidrs, vai tā var saglabāt visus mūžu, un ir nepieciešama ilgstoša novērošana. Tā kā CALD ir reta slimība, pētījumi ir nelieli un pieejamie dati par blakusparādībām ir ierobežoti, un tiem būs nepieciešama arī ilgtermiņa novērošana. Tomēr līdz šim novērotās blakusparādības atbilda šim ārstēšanas veidam sagaidāmajām blakusparādībām. Ņemot vērā slimības nopietnību un pašreiz pieejamo ārstēšanas līdzekļu trūkumu, Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Skysona*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Skysona* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Skysona*, veiks un iesniegs divu ilgtermiņa pētījumu rezultātus, lai sniegtu papildu informāciju par zāļu ieguvumiem un drošumu. Turklāt veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem vai viņu aprūpētājiem uzņēmums nodrošinās izglītojošus materiālus par *Skysona* lietošanu un pacientu uzraudzību. Pacienti saņems arī pacienta brīdinājuma kartīti par ārstēšanu, ko uzrādīt, saņemot veselības aprūpi.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Skysona* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Skysona* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Skysona* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Skysona*

Sīkāka informācija par *Skysona* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skysona

Zāles vairs nav reģistrētas