



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skysona (ċelluli CD34+ awtologi li jikkodifikaw il-ġene ABCD1)

Ħarsa generali lejn Skysona u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Skysona u għal xiex jintuża?

Skysona huwa medicina li tintuża għat-trattament ta' tfal taħt it-18-il sena b'adrenoleukodistrofija ċerebrali bikrija (CALD). CALD hija disturb rari li jintiret fejn ikun hemm bidla (mutazzjoni) fil-ġene ABCD1. Il-mutazzjoni tipprevjeni l-produzzjoni ta' enzima msejha ALDP (proteina adrenoleukodistrofija), li tkisser is-sustanzi xaħmin fil-ġisem imsejha katina twila ħafna ta' aċidi grassi (VLCFAs - very long-chain fatty acids). B'riżultat ta' dan, il-VLCFAs jakkumulaw u jwasslu għal infjammazzjoni u qerda tal-kisja protettiva (mijelina) li tiżola u ttejjeb il-mod kif jaħdmu n-nervituri. CALD tidher kważi esklussivament fl-irġiel.

Skysona jingħata meta donatur għal trapjant ta' ċelluli staminali ematopojetici (proċedura fejn il-mudullun tal-pazjent jitneħħewlu ċ-ċelluli u jiġu sostitwiti b'ċelluli tal-mudullun b'saħħithom) ma jkunx disponibbli.

Skysona huwa tip ta' medicina terapewtika avvanzata msejha "terapija tal-ġeni". Din it-tip ta' medicina taħdem billi twassal il-ġeni fil-ġisem. Is-sustanza attiva fi Skysona hija magħmula minn ċelluli staminali (ċelluli CD34+), derivati mill-mudullun jew mid-demem tal-pazjent innifsu, li jkunu ġew modifikati biex ikollhom kopja tal-ġene biex jipproduċu ALDP funzjonali u jistgħu jinqasmu biex jipproduċu tipi oħrajn ta' ċelluli tad-demem.

CALD hija rari, u Skysona ġie denominat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fit-13 ta' April 2007. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab hawn:

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

Kif jintuża Skysona?

Skysona jista' jingħata biss lill-pazjent li ċ-ċelluli tiegħu jkunu ntużaw sabiex issir il-medicina. Huwa trattament singolu li jingħata bħala infużjoni (dripp) ġo vina u d-doża rakkomandata tiddependi mill-piż tal-ġisem tal-pazjent. Ftit jiem qabel it-trattament, medicina oħra, bħal busulfan, tingħata bħala 'l hekk imsejha trattament ta' kondizzjonament biex jitneħħew iċ-ċelluli tal-mudullun eżistenti u jiġu sostitwiti biċ-ċelluli modifikati fi 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 jista' jinkiseb biss b'ricetta ta' tabib u t-trattament għandu jingħata biss f'centru speċjalizzat minn tabib b'esperjenza fit-trapjant taċ-ċelluli staminali ematopojetici u t-trattament ta' pazjenti b'disturbi fis-sistema nervuża.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Skysona, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Skysona?

Sabiex isir Skysona, iċ-ċelluli CD34+ (ċelluli li jistgħu jipproduċu ċ-ċelluli bojod tad-demem) jiġu estratti mid-demem jew mill-mudullun. Ġene li jippermettilhom jipproduċu l-ALDP jiddaħħal fiċ-ċelluli CD34+ bl-użu ta' tip ta' virus li jissejjaħ lentivirus, li ġie ġenetikament mibdul biex iġorr il-ġene ALDP fiċ-ċelluli filwaqt li ma jikkawżax marda virali fil-bnedmin.

Ladarba jingħata lura lill-pazjent ġol-vina, Skysona jiġi ttrasportat fiċ-ċirkolazzjoni tad-demem għal mudullun fejn iċ-ċelluli CD34+ jibdeu jikbru u jagħmlu ċelluli bojod tad-demem normali li jistgħu jipproduċu ALDP. Dawn iċ-ċelluli bojod tad-demem jinfirxu mal-ġisem u jipproduċu ALDP u dan jgħin biex jitkissru s-sustanzi xaħmin fiċ-ċelluli tal-madwar u jiġu kkontrollati s-sintomi tal-marda. L-effetti huma mistennija li jdumu tit-tul.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Skysona li ħarġu mill-istudji?

Il-benefiċċji ta' Skysona fit-trattament ta' CALD intwerew fi studju ewlieni li involva 30 tifel ta' bejn erba' snin u 14-il sena b'CALD bikrija.

Wara sentejn, 90 % tas-subien ittrattati ma wrew l-ebda sinjal ta' ħsara kbira fin-nervituri, bħat-telf tal-kapaċità li jikkellmu, it-telf tal-kapaċità li jitimghu lilhom infushom, dipendenza fuq is-siġġu tar-roti, għama jew inkontinenza. Dan jista' jittqabbel ma' 29 % fi grupp simili ta' subien mhux ittrattati minn studju separat.

Barra minn hekk, madwar 96 % tas-subien esperjenzaw punteġġ stabbli tal-Kejl tal-Funzjoni Newroloġika Gross (valur li jkejjel il-kapaċità ta' tfal li jkun qad jiżviluppaw li jagħmlu movimenti normali bħal jimxu fuq żaqqhom, joqogħdu bilwieqfa u jimxu) wara sentejn. Kien hemm evidenza ta' benefiċċju kontinwu sa tmien snin wara.

X'inhuma r-riskji assocjati ma' Skysona?

L-effett sekondarju l-aktar komuni bi Skysona (li jista' jaffettwa aktar minn persuna waħda minn kull 10) huwa pancitopenija (għadd baxx taċ-ċelluli tad-demem).

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji ta' Skysona, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Meta jintuża Skysona, għandhom jitqiesu r-restrizzjonijiet għal trattament ta' kondizzjonament u ta' agenti ta' mobilizzazzjoni. Għal-lista sħiħa tar-restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Skysona ġie awtorizzat fl-UE?

Intwera li Skysona jistabbilizza l-marda billi jipprevjeni aktar infjammazzjoni u qerda tal-mijelina taċ-ċelluli tan-nervituri f'pazjenti b'CALD sentejn wara t-trattament, abbażi ta' riżultati ta' studju ewlieni. Għalkemm l-effetti ta' benefiċċju bi Skysona damu bosta snin, għadu mhuwiex ċar jekk jistax jippersisti għall-ħajja, u huwa meħtieġ segwitu estiz. Minħabba li CALD hija marda rari, l-istudji huma żgħar, u d-data disponibbli dwar l-effetti sekondarji hija limitata u se tkun teħtieġ ukoll segwitu fit-tul. Madankollu, l-effetti sekondarji li deħru sal-lum kienu konformi ma' dawk mistennija għal dan it-tip ta' trattament. Minħabba s-serjetà tal-kundizzjoni u n-nuqqas ta' trattamenti eżistenti, l-Aġenzija Ewropea

għall-Medicini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Skysona huma akbar mir-riskji tiegħu u jista' jkun awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qeghdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Skysona?

Il-kumpanija li tqiegħed Skysona fis-suq se twettaq u tippreżenta r-rizultati ta' żewġ studji fit-tul biex tipprovdi aktar informazzjoni dwar il-benefiċċji u s-sigurtà tal-medicina. Barra minn hekk, il-kumpanija se tipprovdi materjali edukattivi għall-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u għall-pazjenti jew għal dawk li jieħdu ħsiebhom dwar kif għandu jintuza Skysona u kif il-pazjenti għandhom jiġu ssorveljati. Il-pazjenti se jirċievu wkoll kard ta' twissija tal-pazjent dwar it-trattament tagħhom li għandhom juru meta jirċievu l-kura tas-saħħa.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Skysona.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Skysona hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati bi Skysona huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Skysona

Aktar informazzjoni dwar Skysona tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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