



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skysona (*avtologne celice CD34+, ki kodirajo gen ABCD1*)

Pregled zdravila Skysona in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Skysona in za kaj se uporablja?

Skysona je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje otrok, mlajših od 18 let, z zgodnjo možgansko adrenolevkodistrofijo (CALD). Možganska adrenolevkodistrofija je redka prirojena motnja, pri kateri pride do spremembe (mutacije) v genu *ABCD1*. Ta mutacija prepreči tvorbo encima, imenovanega ALDP (beljakovina adrenolevkodistrofije), ki v telesu razgrajuje maščobne snovi, imenovane zelo dolgoveržne maščobne kisline (VLFA). Zato se dolgoveržne maščobne kisline kopičijo ter povzročajo vnetje in uničenje zaščitnega ovoja (mielina), ki obvaruje in izboljša način delovanja živcev. Možganska adrenolevkodistrofija se pojavi skoraj izključno pri moških.

Zdravilo Skysona se daje, ko darovalec za presaditev krvotvornih matičnih celic (postopek, pri katerem se iz bolnikovega kostnega mozga odstranijo celice in nadomestijo z zdravimi celicami kostnega mozga) ni na voljo.

Zdravilo Skysona spada v skupino zdravil za napredno zdravljenje, ki se imenujejo „gensko zdravljenje“. Gre za skupino zdravil, ki delujejo tako, da prenesejo gene v telo. Učinkovina v zdravilu Skysona je izdelana iz matičnih celic (celic CD34+), pridobljenih iz bolnikovega lastnega kostnega mozga ali krvi, ki so bile spremenjene tako, da vsebujejo kopijo gena za izdelavo delujoče beljakovine adrenolevkodistrofije, in se lahko delijo, da proizvajajo druge vrste krvnih celic.

Možganska adrenolevkodistrofija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Skysona 13. aprila 2007 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj:

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

Kako se zdravilo Skysona uporablja?

Zdravilo Skysona se lahko daje le bolniku, katerega celice so bile uporabljene za izdelavo zdravila. Gre za enkratno zdravljenje, dano z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno, odmerek pa je odvisen od telesne mase bolnika. Nekaj dni pred zdravljenjem je treba dati drugo zdravilo, npr. busulfan, v okviru mieloablativnega postopka, da se izločijo obstoječe celice kostnega mozga in se nadomestijo s spremenjenimi celicami v zdravilu 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



Predpisovanje in izdaja zdravila Skysona je le na recept, zdravljenje z njim pa lahko v specializiranem centru izvaja samo zdravnik, ki ima izkušnje s presaditvijo krvotvornih matičnih celic in zdravljenjem bolnikov z boleznimi živčnega sistema.

Za več informacij glede uporabe zdravila Skysona glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Skysona deluje?

Za izdelavo zdravila Skysona se celice CD34+ (celice, ki izdelujejo bele krvne celice) pridobivajo iz krvi ali kostnega mozga. Gen, ki jim omogoča tvorjenje beljakovine ALDP, se vstavi v celice CD34+ s pomočjo vrste virusa, imenovanega lentivirus, ki je bil genetsko spremenjen tako, da prenaša gen beljakovine ALDP v celice, ne da bi pri tem povzročil virusno bolezen pri ljudeh.

Po dajanju zdravila Skysona v veno bolnika se zdravilo prenese po krvnem obtoku do kostnega mozga, kjer celice CD34+ začnejo rasti in izdelovati normalne bele krvne celice, ki proizvajajo delujočo beljakovino ALDP. Te bele krvne celice se širijo po telesu in tvorijo to beljakovino, kar pomaga razgraditi maščobne snovi v okoliških celicah in nadzorovati simptome bolezni. Učinki naj bi bili dolgotrajni.

Kakšne koristi zdravila Skysona so se pokazale v študijah?

Koristi zdravila Skysona pri zdravljenju možganske adrenolevkodistrofije so dokazali v glavni študiji, v katero je bilo vključenih 30 dečkov, starih od 4 do 14 let, z zgodnjo obliko bolezni.

Po dveh letih 90 % zdravljenih dečkov ni imelo nobenih znakov večje poškodbe živcev, kot so izguba sposobnosti za govorjenje, izguba sposobnosti za samostojno hranjenje, odvisnost od invalidskega vozička, slepota ali inkontinenca. To je mogoče primerjati z 29 % v podobni skupini nezdravljenih dečkov iz ločene študije.

Poleg tega je pri približno 96 % dečkov po dveh letih prišlo do stabilnega rezultata meritev grobe nevrološke funkcije (vrednost, ki meri otrokovo sposobnost, da izvede normalne gibe, kot so plazenje, stoja in hoja). Obstajajo dokazi, da se koristi zdravljenja nadaljujejo še do osem let.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Skysona?

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Skysona (ki se lahko pojavi pri več kot 1 bolniku od 10) je pancitopenija (nizka raven krvnih celic).

Za celoten seznam neželenih učinkov zdravila Skysona glejte navodilo za uporabo.

Pri uporabi zdravila Skysona je treba upoštevati omejitve glede zdravil za mieloablativni postopek in mobilizacijo. Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Skysona odobreno v EU?

Rezultati glavne študije so pokazali, da zdravilo Skysona stabilizira bolezen še dve leti po zdravljenju s preprečevanjem nadaljnega vnetja in demielinizacije živčnih celic pri bolnikih z možgansko adrenolevkodistrofijo. Čeprav so koristni učinki zdravila Skysona trajali več let, še ni jasno, ali lahko traja celo življenje, zato je potrebno daljše spremljanje. Ker je možganska adrenolevkodistrofija redka bolezen, so študije majhne, razpoložljivi podatki o neželenih učinkih pa so omejeni, zato bo potrebno tudi dolgoročno spremljanje. Do zdaj opaženi neželeni učinki pa so bili v skladu s pričakovanimi za to vrsto zdravljenja. Glede na resnost bolezni in pomanjkanje obstoječih zdravljenj je Evropska agencija

za zdravila zaključila, da so koristi zdravila Skysona večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Skysona?

Podjetje, ki trži zdravilo Skysona, bo izvedlo in predložilo rezultate dveh dolgoročnih študij, da bi zagotovilo dodatne informacije o koristih in varnosti zdravila. Poleg tega bo priskrbelo izobraževalno gradivo za zdravstvene delavce in bolnike ali njihove skrbnike o uporabi zdravila Skysona in njegovem spremljanju. Bolniki bodo prejeli tudi opozorilno kartico, ki jo morajo pokazati ob prejemu zdravstvenega varstva.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Skysona upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Skysona stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Skysona, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Skysona

Nadaljnje informacije o zdravilu Skysona so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skysona.