



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skysona (*autologa CD34+-celler som kodar för ABCD1-genen*)

Sammanfattning av Skysona och varför det är godkänt inom EU

Vad är Skysona och vad används det för?

Skysona är ett läkemedel som används för att behandla barn under 18 års ålder med tidig cerebral adrenoleukodystrofi (CALD). CALD är en sällsynt ärftlig sjukdom som kännetecknas av en förändring (mutation) i *ABCD1*-genen. Mutationen hindrar produktionen av ett enzym som kallas ALDP (adrenoleukodystrofi protein), som bryter ner fettämnen i kroppen som kallas mycket långa fettsyrekedjor. Som en följd av detta ansamlas de mycket långa fettsyrekedjorna vilket leder till inflammation och nedbrytning av det skyddande hölje (myelin) som isolerar nerverna och gör att deras funktion förbättras. CALD ses nästan uteslutande hos män.

Skysona ges när det inte finns någon donator för hematopoetisk stamcellstransplantation (ett förfarande där patientens benmärg rensas från celler och ersätts med friska benmärgsceller).

Skysona är en typ av läkemedel för avancerad terapi som kallas "genterapiprodukt". Denna typ av läkemedel verkar genom att gener förs in i kroppen. Den aktiva substansen i Skysona är tillverkad av stamceller (CD34+-celler) från patientens benmärg eller blod, vilka har modifierats så att de innehåller en kopia av den gen som krävs för att tillverka ett fungerande ALDP och kan dela sig för att framställa andra typer av blodkroppar.

CALD är sällsynt och Skysona klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 13 april 2007. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121003>

Hur används Skysona?

Skysona kan endast ges till den patient vars celler användes för att framställa läkemedlet. Läkemedlet ges som en engångsbehandling genom infusion (dropp) i en ven. Dosen beror på patientens kroppsvikt. Några dagar före behandlingen ges ett annat läkemedel, t.ex. busulfan, som en konditioneringsbehandling för att rensa ut befintliga benmärgsceller och ersätta dem med de modifierade cellerna i 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 är receptbelagt och behandling ska endast ges på en specialistklinik av en läkare med erfarenhet av hematopoetisk stamcellstransplantation och av behandling av patienter med sjukdomar i nervsystemet.

För mer information om hur du använder Skysona, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Skysona?

För att framställa Skysona samlar man in CD34+-cellerna (celler som kan framställa vita blodkroppar) från blodet eller benmärgen. En gen som gör att de kan framställa ALDP förs in i CD34+-cellerna med hjälp av en typ av virus som kallas lentivirus, som har ändrats genetiskt för att bära med sig ALDP-genen in i cellerna utan att orsaka någon virussjukdom hos människor.

När Skysona förs tillbaka in i patientens ven transporteras läkemedlet i blodet till benmärgen där CD34+-cellerna börjar växa och framställa normala vita blodkroppar som kan producera ALDP. Dessa vita blodkroppar sprids i kroppen och bildar ALDP, som hjälper till att bryta ner fettämnen i de omgivande cellerna och kontrollera sjukdomssymtomen. Effekterna förväntas vara långvariga.

Vilka fördelar med Skysona har visats i studierna?

Nyttan med Skysona vid behandling av CALD visades i en huvudstudie på 30 pojkar i åldern 4–14 år med tidig CALD.

Efter två år uppvisade 90 procent av de behandlade pojkarna inga tecken på allvarlig nervskada, såsom nedsatt talförmåga, nedsatt förmåga att äta själva, beroende av rullstol, blindhet eller inkontinens. Detta kan jämföras med 29 procent i en liknande grupp obehandlade pojkar från en separat studie.

Efter två år hade dessutom omkring 96 procent av pojkarna en stabil poäng för grov neurologisk funktion (Gross Neurological Function Measure, ett värde som mäter ett växande barns förmåga att utföra normala rörelser såsom att krypa, stå och gå). Det fanns belägg för fortsatt nytta efter upp till 8 år.

Vilka är riskerna med Skysona?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Skysona (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är pancytopeni (lågt antal blodkroppar).

En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Skysona finns i bipacksedeln.

Vid användning av Skysona måste restriktionerna för konditioneringsbehandling och mobiliseringsmedel beaktas. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför är Skysona godkänt i EU?

Skysona visade sig stabilisera sjukdomen genom att förhindra ytterligare inflammation och förstörelse av nervcellernas myelin hos patienter med CALD två år efter behandling, baserat på resultaten från en huvudstudie. Även om de gynnsamma effekterna av Skysona varade i flera år är det ännu inte klart om de kan kvarstå hela livet, och därför krävs en utökad uppföljning. Eftersom CALD är en sällsynt sjukdom är studierna små, och de tillgängliga uppgifterna om biverkningar är begränsade och kommer också att kräva långvarig uppföljning. Biverkningarna har dock hittills varit i linje med dem som kan förväntas för denna typ av behandling. Med tanke på hur allvarlig sjukdomen är och bristen på

befintliga behandlingar fann Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) att fördelarna med Skysona är större än riskerna och att Skysona kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Skysona?

Företaget som marknadsför Skysona kommer att utföra två långtidsstudier och lämna in resultaten från dessa för att tillhandahålla ytterligare information om nyttan och säkerheten med läkemedlet. Dessutom kommer företaget att förse hälso- och sjukvårdspersonal och patienter eller deras vårdare med utbildningsmaterial om hur Skysona ska användas och hur patienterna ska övervakas. Patienterna kommer också att få ett patientinformationskort om sin behandling som ska visas upp när de får hälso- och sjukvård.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Skysona har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Skysona kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Skysona utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Skysona

Mer information om Skysona finns på EMA:s webbplats:

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

Läkemedlet är inte längre godkänt för försäljning