



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/583034/2023
EMA/H/C/006084

Skyclarys (*omaveloksoloon*)

Ülevaade ravimist Skyclarys ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Skyclarys ja milleks seda kasutatakse?

Skyclarys on ravim, mida kasutatakse vähemalt 16-aastastel patsientidel Friedreichi ataksia raviks. See on pärilik haigus, mis kahjustab närvisüsteemi, põhjustades koordinatsiooni-, tasakaalu- ja liikumisraskusi, väsimust, kõneraskusi ning kardiomüopaatia (südamelihase kahjustuse) ja diabeedi suurenenud riski.

Friedreichi ataksia esineb harva ja Skyclarys nimetati 27. juunil 2018 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on EMA [veebilehel](#).

Skyclarys sisaldab toimeainet omaveloksolooni.

Kuidas Skyclaryst kasutatakse?

Skyclarys on retseptiravim, mis tähendab, et seda kasutatakse tavalisest rangematel tingimustel. Ravimi andmist tohib alustada üksnes Friedreichi ataksiaga patsientide ravis kogunud arst ning ravi peab toimuma tema järelevalve all.

Ravimit turustatakse suukaudsete kapslitena, mida võetakse üks kord ööpäevas. Annust võib olla vaja vähendada, kui patsient võtab muid ravimeid (CYP3A inhibiitoreid), mis võivad mõjutada Skyclaryse lagunemist organismis.

Lisateavet Skyclaryse kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Skyclarys toimib?

Ei ole täielikult teada, kuidas Skyclaryse toimeaine omaveloksoloon toimib. Tõendatud on siiski, et see aktiveerib Nrf2-raja, mis aitab rakkudel reageerida oksüdatiivsele stressile (seisund, mis võib tekkida, kui organismis on liiga palju vabu radikaale ja ei ole piisavalt neid eemaldavaid antioksidante, mis võib põhjustada rakkude ja kudede kahjustusi). Friedreichi ataksiaga patsientidel näib olevat vähenenud Nrf2 sisaldus ja aktiivsus.

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



Mis on uuringute põhjal Skyclaryse kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 103 Friedreichi ataksiaga 16–40-aastast patsienti, oli Skyclarys füüsilise kahjustuse vähendamisel pärast 48-nädalast ravi efektiivsem kui platseebo (näiv ravim).

Friedreichi ataksia neuroloogiliste sümptomite (närvide või närvisüsteemi sümptomid) raskusastme hindamiseks kasutati modifitseeritud Friedreichi ataksia hindamiskaalat (mFARS), mis koosneb mitmest füüsilise läbivaatuse hinnangust. Kui mFARSi skoor väheneb, tähendab see füüsilise kahjustuse vähenemist.

Pes cavus (nõgujalg) on jala deformatsioon, mida sageli peetakse Friedreichi ataksia tüsistuseks. Et ei ole olemas standardmeetodit, mis klassifitseeriks *pes cavuse* raskust, ja et see seisund võib mõjutada mFRASi skaalat, ei kaasatud esmastesse analüüsidesse *pes cavusega* patsiente.

*Pes cavuse*ta 82 patsiendil vähenes mFARSi skaalaväärtus Skyclaryst saanud patsientidel ligikaudu 1,6 võrra ja suurenes ligikaudu 0,9 võrra platseebot saanud patsientidel.

Uuringus hinnati ka ravi mõju Friedreichi ataksiaga patsientide igapäevaeluga toimetuleku skoorile (FA-ADL) – näitaja, mida kasutatakse, et hinnata, kui hästi tulevad Friedrichi ataksiaga inimesed toime argitoimingutega, nagu riietumine, pesemine ja söömine. Suurem skoor viitab puude suuremale raskusastmele. *Pes cavuse*ta 82 patsiendil vähenes FA-ADLi skoor Skyclaryst saanud patsientidel ligikaudu 0,2 võrra ja suurenes ligikaudu 1,1 võrra platseebot saanud patsientidel.

Mis on Skyclaryse riskid?

Skyclaryse kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Skyclaryse kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on maksaensüümide (alaniini aminotransferaasi ja aspartaadi aminotransferaasi) sisalduse suurenemine, peavalu, kehamassi vähenemine, iiveldus, oksendamine, kõhulahtisus, väsimus, suu- ja kurguvalu, seljavalu, lihasespasmid, gripp ja isutus.

Miks Skyclarys ELis heaks kiideti?

Müügiloa andmise ajal esines Friedreichi ataksiaga patsientidel oluline täitmata ravivajadus, sest puudusid muud selle haiguse raviks heakskiidetud ravimid. Tõendati, et Skyclarys on Friedreichi ataksiaga patsientidele kasulik. Kuigi põhiuuringuga seoses esines määramatusi, näiteks patsientide väike arv, haiguse raskete vormidega (kaugelearenenud südamehaiguse ja diabeediga) ja tüsistustega, näiteks *pes cavusega* (nagu on määratletud uuringus) patsientide väljajätmine, leidis amet, et täheldatud kasulikkus avaldub ka nendele patsientidele. Üldiselt peeti Skyclaryse ohutusprofiili hallatavaks, sest põhiuuringus olid kõrvalnähud üldiselt kerged kuni mõõdukad ja lahenesid enamasti kahe kuu jooksul.

Euroopa Raviamet otsustas, et Skyclaryse kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Skyclaryse ohutu ja efektiivne kasutamine?

Skyclaryse ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Skyclaryse kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Skyclaryse oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Skyclaryse kohta

Lisateave Skyclaryse kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys.