



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaveloksoloni*)

Yleistiedot Skyclarys-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Skyclarys on ja mihin sitä käytetään?

Skyclarys on lääke, jota käytetään vähintään 16-vuotiailla potilailla Friedreichin ataksian hoitoon. Se on perinnöllinen sairaus, joka vaurioittaa hermostoa ja aiheuttaa koordinaatio-, tasapaino- ja liikkumisvaikeuksia, väsymystä, puhevaikeuksia sekä lisääntynyttä riskiä sairastua kardiomyopatiaan (sydänlihaskvaurio) ja diabetekseen.

Friedreichin ataksia on harvinainen sairaus, ja Skyclarys nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 27. kesäkuuta 2018. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Skyclarysin vaikuttava aine on omaveloksoloni.

Miten Skyclarysia käytetään?

Skyclarysin käytön edellytykset ovat tavanomaista tiukemmat, ja siksi sitä saa ainoastaan lääkärin erityismääräyksellä. Skyclarys-lääkehoidon saa aloittaa ja sitä saa valvoa vain lääkäri, joka on perehtynyt Friedreichin ataksiaan sairastavien potilaiden hoitoon.

Lääkettä on saatavana kapsleina, jotka otetaan suun kautta kerran vuorokaudessa. Annosta voi olla tarpeen pienentää potilailla, jotka käyttävät muita CYP3A:n estäjiksi kutsuttuja lääkkeitä, koska nämä lääkkeet voivat vaikuttaa Skyclarysin hajoamiseen elimistössä.

Lisätietoja Skyclarys-valmisteen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Skyclarys vaikuttaa?

Skyclarysin vaikuttavan aineen omaveloksolonin tarkkaa vaikutustapaa ei täysin tunneta. Sen on kuitenkin osoitettu aktivoivan Nrf2-transkriptiotekijän signaalintireitin, joka auttaa soluja reagoimaan oksidatiiviseen stressiin (tila, jossa elimistössä on liikaa vapaita radikaaleja eikä tarpeeksi antioksidantteja niiden hävittämiseen, mikä voi johtaa solu- ja kudosaivuriin). Nrf2-transkriptiotekijän määrä ja aktiivisuus näyttävät vähentyneen Friedreichin ataksiaan sairastavilla potilailla.

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



Mitä hyötyä Skyclarysista on havaittu tutkimuksissa?

Skyclarys vähensi fyysisen toimintakyvyn heikkenemistä lumelääkettä tehokkaammin 48 hoitoviikon jälkeen päätutkimuksessa, johon osallistui 103 Friedreichin ataksiaa sairastavaa 16–40-vuotiasta potilasta.

Friedreichin ataksian neurologisten (hermoihin tai hermostoon liittyvien) oireiden vaikeusasteen arvioinnissa käytettiin muokattua Friedreichin ataksia-arviointiasteikkoa (modified Friedreich's ataxia rating scale, mFARS), joka koostuu sarjasta fyysisen toimintakyvyn arviointeja. mFARS-asteikon pistemäärän pieneneminen tarkoittaa vähäisempää fyysisen toimintakyvyn heikentymistä.

Kaarijalka on jalkaterän virheasento, jota usein pidetään Friedreichin ataksian komplikaationa. Koska kaarijalan vaikeusasteen luokitteluun ei ole olemassa standardoitua menetelmää ja koska tämä tila saattaa vaikuttaa mFARS-pisteytykseen, potilaita, joilla on kaarijalka, ei otettu mukaan ensisijaisiin analyyseihin.

Niillä 82 potilaalla, joilla ei ollut kaarijalkaa, Skyclarysia saaneiden potilaiden mFARS-arviointiasteikon pistemäärä laski noin 1,6 pistettä. Lumelääkettä saaneiden vastaava luku oli noin 0,9.

Tutkimuksessa arvioitiin myös hoidon vaikutusta potilaiden FA-ADL-pistemäärään. FA-ADL-asteikolla arvioidaan, kuinka hyvin Friedreichin ataksiaa sairastavat suoriutuvat päivittäisistä toiminnoista, kuten pukeutumisesta, peseytymisestä ja syömisestä. Korkeammat pistemäärät merkitsevät suurempaa toimintarajoitetta. Niistä 82 potilaasta, joilla ei ollut kaarijalkaa, Skyclarysia saaneilla FA-ADL-arviointiasteikon pistemäärä laski noin 0,2 pistettä, kun lumelääkettä saaneilla se nousi noin 1,1 pistettä.

Mitä riskejä Skyclarysiin liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Skyclarysin ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Skyclarysin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat maksaentsyymien kohonneet pitoisuudet (alaniiniaminotransferaasi ja aspartaattiaminotransferaasi), päänsärky, painonlasku, pahoinvointi, oksentelu, ripuli, väsymys, kipu suussa ja kurkkukipu, selkäkipu, lihaskouristukset, influenssa ja ruokahalun heikentyminen.

Miksi Skyclarys on hyväksytty EU:ssa?

Hyväksynnän ajankohtana Friedreichin ataksiaa sairastavilla potilailla oli huomattava täyttymätön lääketieteellinen tarve, koska sairauden hoitoon ei ollut muita hyväksytyjä lääkkeitä. Skyclarysista on osoitettu olevan hyötyä Friedreichin ataksiaa sairastaville potilaille. Vaikka päätutkimukseen liittyi epävarmuustekijöitä, kuten potilaiden pieni määrä, sairauden vaikeista muodoista kärsivien potilaiden (joilla on pitkälle edennyt sydänsairaus ja diabetes) ja komplikaatioiden, kuten kaarijalan (sellaisena kuin se on määritelty tutkimuksessa), poissulkeminen, virasto katsoi, että havaitut hyödyt koskivat myös näitä potilaita. Skyclarysin turvallisuusprofiilia pidettiin yleisesti ottaen hallittavana, sillä päätutkimuksessa haittavaikutukset olivat yleensä lieviä tai keskivaikeita ja hävisivät useimmiten kahden kuukauden kuluessa.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Skyclarys-valmisteesta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Skylarys-valmisteen turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Skylarys-valmisteen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Skylarys-valmisteen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Skylarys-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Skylarysista

Lisätietoja Skylarysista on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skylarys