



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Skyclarys (*omaveloxolone*)

Aperçu de Skyclarys et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

### Qu'est-ce que Skyclarys et dans quel cas est-il utilisé?

Skyclarys est un médicament utilisé chez les patients âgés de 16 ans et plus pour traiter l'ataxie de Friedreich, une maladie héréditaire qui provoque des lésions du système nerveux, entraînant des difficultés de coordination, d'équilibre et de mouvement, de la fatigue, des difficultés à parler, ainsi qu'un risque accru de cardiomyopathie (lésions du muscle cardiaque) et de diabète.

L'ataxie de Friedreich est rare et Skyclarys a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 27 juin 2018. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Skyclarys contient la substance active omavéloxolone.

### Comment Skyclarys est-il utilisé?

Skyclarys n'est délivré que sur ordonnance «spéciale», ce qui signifie qu'il est indiqué dans des conditions plus strictes que les conditions habituelles. Le médicament ne doit être instauré et surveillé que par un médecin expérimenté dans le traitement des patients atteints d'ataxie de Friedreich.

Le médicament est disponible sous la forme de gélules à prendre par voie orale une fois par jour. Il peut être nécessaire de réduire la dose si le patient prend d'autres médicaments appelés «inhibiteurs du CYP3A» qui pourraient influencer la manière dont Skyclarys est dégradé dans l'organisme.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Skyclarys, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

### Comment Skyclarys agit-il?

Le fonctionnement de la substance active de Skyclarys, l'omavéloxolone, n'est pas complètement élucidé. Toutefois, il a été démontré qu'il active la voie Nrf2, qui aide les cellules à répondre au stress oxydatif (un état qui peut survenir lorsque les radicaux libres sont trop nombreux dans le corps et qu'il n'y a pas assez d'antioxydants pour les éliminer, ce qui peut entraîner des lésions cellulaires et tissulaires). Les taux et l'activité de la Nrf2 semblent être réduits chez les patients atteints d'ataxie de Friedreich.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Quels sont les bénéfices de Skyclarys démontrés au cours des études?

Dans une étude principale portant sur 103 patients atteints d'ataxie de Friedreich âgés de 16 à 40 ans, Skyclarys s'est avéré plus efficace que le placebo (un traitement fictif) pour réduire l'insuffisance physique après 48 semaines de traitement.

L'échelle d'évaluation de l'ataxie de Friedreich modifiée (*modified Friedreich's ataxia rating scale, mFARS*), qui consiste en plusieurs évaluations d'examen physiques, a été utilisée pour évaluer la sévérité des symptômes neurologiques (liés aux nerfs ou au système nerveux) de l'ataxie de Friedreich. Si le score mFARS diminue, cela signifie que l'insuffisance physique est moindre.

Le pes cavus est une déformation du pied souvent perçue comme une complication de l'ataxie de Friedreich. Étant donné qu'il n'existe pas de méthode normalisée de classification de la sévérité du pes cavus et en raison de l'incidence possible de l'affection sur le score mFARS, les patients présentant un pes cavus n'ont pas été inclus dans les analyses primaires.

Chez 82 patients sans pes cavus, les patients ayant reçu Skyclarys ont présenté une réduction d'environ 1,6 de leur score mFARS par rapport à une augmentation d'environ 0,9 chez ceux ayant reçu un placebo.

L'étude a également permis d'évaluer l'incidence du traitement sur le score FA-ADL des patients, une mesure utilisée pour évaluer dans quelle mesure les personnes atteintes d'ataxie de Friedrich peuvent effectuer des activités quotidiennes, telles que s'habiller, se baigner et manger, avec des scores plus élevés indiquant des taux plus élevés de handicap. Sur les 82 patients sans pes cavus, ceux ayant reçu Skyclarys ont présenté une réduction d'environ 0,2 de leur score FA-ADL par rapport à une augmentation d'environ 1,1 chez ceux sous placebo.

## Quels sont les risques associés à l'utilisation de Skyclarys?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Skyclarys, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Skyclarys (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: augmentation des taux d'enzymes hépatiques (appelées alanine aminotransférase et aspartate aminotransférase), maux de tête, perte de poids, nausées, vomissements, diarrhée, fatigue, douleurs au niveau de la bouche et de la gorge, maux de dos, contractures musculaires, grippe et diminution de l'appétit.

## Pourquoi Skyclarys est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'approbation, il existait un besoin médical non satisfait important pour les patients atteints d'ataxie de Friedreich, étant donné qu'il n'existait pas d'autres médicaments autorisés pour le traitement de cette maladie. Il a été démontré que Skyclarys est bénéfique pour les patients atteints d'ataxie de Friedreich. Bien qu'il y ait eu des incertitudes liées à l'étude principale, telles que le faible nombre de patients, l'exclusion des patients présentant des formes graves de la maladie (ceux souffrant d'une maladie cardiaque avancée et de diabète) et des complications telles que le pes cavus (telles que définies dans l'étude), l'Agence a estimé que les bénéfices observés s'appliquaient également à ces patients. Dans l'ensemble, le profil de sécurité de Skyclarys a été considéré comme gérable étant donné que les effets indésirables de l'étude principale étaient généralement de gravité légère à modérée et ont été, dans la plupart des cas, résolus dans un délai de deux mois.

Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Skyclarys sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Skyclarys?**

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Skyclarys ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Skyclarys sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Skyclarys sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

### **Autres informations relatives à Skyclarys:**

De plus amples informations sur Skyclarys sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys).