



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaveloksolon*)

Pregled informacija o lijeku Skyclarys i zašto je odobren u EU-u

Što je Skyclarys i za što se koristi?

Skyclarys je lijek koji se koristi u bolesnika u dobi od 16 godina i starijih za liječenje Friedreichove ataksije, nasljedne bolesti koja uzrokuje oštećenje živčanog sustava, što dovodi do poteškoća s koordinacijom, ravnotežom i kretanjem te umora, otežanog govora, kao i povećanog rizika od kardiomiopatije (oštećenja srčanog mišića) i dijabetesa.

Friedreichova ataksija rijetka je bolest, a lijek Skyclarys dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 27. lipnja 2018. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu](#) EMA-e.

Skyclarys sadrži djelatnu tvar omaveloksolon.

Kako se Skyclarys primjenjuje?

Skyclarys se izdaje samo na „poseban“ recept, što znači da se primjenjuje pod strožim uvjetima od uobičajenih. Primjenu lijeka smije započeti i nadzirati samo liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika s Friedreichovom ataksijom.

Lijek je dostupan u obliku kapsula koje se uzimaju kroz usta jednom dnevno. Dozu će možda biti potrebno smanjiti ako bolesnik uzima druge lijekove naziva „inhibitori CYP3A“ koji mogu utjecati na način na koji se lijek Skyclarys razgrađuje u tijelu.

Za više informacija o primjeni lijeka Skyclarys pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Skyclarys ?

Nije u potpunosti poznato na koji način djeluje omaveloksolon, djelatna tvar u lijeku Skyclarys. Međutim, dokazano je da aktivira put Nrf2 koji pomaže stanicama da odgovore na oksidativni stres (stanje koje se može pojaviti kada u tijelu ima previše slobodnih radikala i nema dovoljno antioksidansa da bi ih se riješilo, što može dovesti do oštećenja stanica i tkiva). Čini se da su razine i aktivnost Nrf2 smanjene u bolesnika s Friedreichovom ataksijom.

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



Koje su koristi od lijeka Skyclarys utvrđene u ispitivanjima?

U glavnom ispitivanju kojim su bila obuhvaćena 103 bolesnika s Friedreichovom ataksijom u dobi od 16 do 40 godina, lijek Skyclarys bio je učinkovitiji od placeba (prividnog liječenja) u smanjenju fizičkog oštećenja nakon 48 tjedana liječenja.

Modificirana Friedreichova ljestvica za ocjenu ataksije (mFARS), koja se sastoji od niza procjena tjelesnog pregleda, upotrijebljena je za procjenu težine neuroloških simptoma (povezanih sa živcima ili živčanim sustavom) Friedreichove ataksije. Ako se rezultat ljestvice mFARS smanji, to znači da je došlo do smanjenja fizičkog oštećenja.

Pes cavus je deformacija stopala koja se često smatra komplikacijom Friedreichove ataksije. Budući da ne postoji standardizirana metoda za klasifikaciju težine deformacije *pes cavus* i zbog mogućeg utjecaja stanja na rezultat ljestvice mFARS, bolesnici s deformacijom *pes cavus* nisu bili uključeni u primarne analize.

Kod 82 bolesnika bez deformacije *pes cavus*, oni koji su primali Skyclarys imali su smanjenje od približno 1,6 u rezultatu ljestvice mFARS u usporedbi s povećanjem od oko 0,9 u bolesnika koji su primili placebo.

U ispitivanju je također ocijenjen učinak liječenja na rezultat upitnika FA-ADL u bolesnika, mjeru koja se koristi za procjenu koliko dobro osobe s Friedreichovom ataksijom mogu obavljati svakodnevne aktivnosti kao što su odijevanje, kupanje i unos hrane, pri čemu više vrijednosti ukazuju na veće razine ograničenja aktivnosti. Od 82 bolesnika koji nisu imali *pes cavus*, oni koji su primali Skyclarys imali su smanjenje od oko 0,2 u njihovu rezultatu upitnika FA-ADL, u odnosu na povećanje od oko 1,1 u bolesnika koji su primali placebo.

Koji su rizici povezani s lijekom Skyclarys?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Skyclarys potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Skyclarys (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju povišene razine jetrenih enzima (naziva alanin transaminaza i aspartat aminotransferaza), glavobolju, smanjenje tjelesne težine, osjećaj slabosti, povraćanje, proljev, osjećaj umora, bol u ustima i grlu, bol u leđima, grčevi u mišićima, gripa i smanjen apetit.

Zašto je lijek Skyclarys odobren u EU-u?

U vrijeme izdavanja odobrenja postojala je znatna nezadovoljena medicinska potreba za bolesnike s Friedreichovom ataksijom, s obzirom na to da nije bilo drugih lijekova odobrenih za liječenje te bolesti. Pokazalo se da bolesnici koji boluju od Friedreichove ataksije imaju koristi od lijeka Skyclarys. Iako su postojale neizvjesnosti povezane s glavnim ispitivanjem, kao što su mali broj bolesnika, isključivanje bolesnika s teškim oblicima bolesti (osobe s uznapredovalim srčanim bolestima i dijabetesom) i komplikacije kao što je *pes cavus* (kako je definirano u ispitivanju), Agencija je smatrala da se uočene koristi odnose i na te bolesnike. Općenito, smatra se da je sigurnosni profil lijeka Skyclarys moguće kontrolirati s obzirom na to da su nuspojave u glavnom ispitivanju bile uglavnom blage do umjerene i uglavnom su se povukle u roku od dva mjeseca.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Skyclarys nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Skyclarys?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Skyclarys nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Skyclarys kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Skyclarys pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Skyclarys

Više informacija o lijeku Skyclarys dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:

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