



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Skyclarys (*omaveloxolon*)

A Skyclarys-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### Milyen típusú gyógyszer a Skyclarys és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Skyclarys 16 éves és idősebb betegeknél a Friedreich-ataxia kezelésére alkalmazott gyógyszer. Ez egy idegrendszeri károsodást okozó örökletes betegség, amely egyensúlyzavarhoz, mozgáskoordinációs nehézségekhez, fáradtsághoz, a beszédképesség csökkenéséhez, valamint a kardiomiopátia (a szívizom károsodása) és a cukorbetegség fokozott kockázatához vezet.

Mivel a Friedreich-ataxia „ritkának” minősül, ezért a Skyclarys-t 2018. június 27-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Skyclarys hatóanyaga az omaveloxolon.

### Hogyan kell alkalmazni a Skyclarys-t?

A Skyclarys csak „különleges” receptre kapható, ami azt jelenti, hogy a szokásosnál szigorúbb körülmények között alkalmazzák. A gyógyszerrel végzett kezelést a Friedreich-ataxiában szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A gyógyszer kapszula formájában kapható, amelyet szájon át, naponta egyszer kell bevenni. Az adag csökkentésére lehet szükség, ha a beteg más gyógyszereket, úgynevezett „CYP3A inhibitorokat” szed, amelyek befolyásolhatják a Skyclarys lebomlását a szervezetben.

A Skyclarys alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

### Hogyan fejti ki hatását a Skyclarys?

Nem teljesen ismert, hogy a Skyclarys hatóanyaga, az omaveloxolon hogyan fejti ki hatását. Kimutatták azonban, hogy aktiválja az Nrf2-útvonalat, amely segíti a sejteket az oxidatív stresszre (ami akkor fordulhat elő, ha túl sok szabad gyök van a szervezetben, és nincs elég antioxidáns a szabad gyökök eltüntetéséhez, ami sejt- és szövetkárosodáshoz vezethet) való reakcióban. Úgy tűnik, hogy az Nrf2 szintje és aktivitása csökken a Friedreich-ataxiában szenvedő betegeknél.

**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



## Milyen előnyei voltak a Skyclarys alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy 103, Friedreich-ataxiában szenvedő, 16 és 40 év közötti beteg bevonásával végzett fő vizsgálatban a Skyclarys 48 hetes kezelést követően hatékonyabbnak bizonyult a placebónál (hatóanyag nélküli kezelés) a fizikai károsodás csökkentésében.

Az egy sor fizikai vizsgálati értékelésből álló módosított Friedreich-ataxia értékelő skálát (mFARS) alkalmazták a Friedreich-ataxia neurológiai (az idegekkel vagy az idegrendszerrel kapcsolatos) tünetei súlyosságának értékeléséhez. Ha az mFARS-pontszám csökken, az azt jelenti, hogy csökken a fizikai károsodás.

A pes cavus egy lábdeformitás, amely gyakran a Friedreich-ataxia szövődményeként jelentkezik. Mivel nincs szabványosított módszer a pes cavus súlyosságának osztályozására, és az állapotnak az mFARS-pontszámra gyakorolt lehetséges hatása miatt a pes cavusban szenvedő betegeket nem vették figyelembe az elsődleges elemzésekben.

A 82, pes cavusban nem szenvedő beteg esetében a Skyclarys-t kapó betegeknél az mFARS-pontszám körülbelül 1,6-del csökkent, szemben a placebóval kezelt betegeknél tapasztalt körülbelül 0,9-es növekedéssel.

A vizsgálatban a kezelésnek az FA-ADL pontszámra gyakorolt hatását is értékelték. Ez egy olyan mérőszám, amelyet annak értékelésére használnak, hogy a Friedreich-ataxiában szenvedő betegek mennyire képesek a mindennapi életben olyan tevékenységeket végezni, mint a felöltözés, a fürdés és az evés. A magasabb pontszámok a fogyatékosabb magasabb szintjét jelzik. A 82, pes cavusban nem szenvedő beteg közül a Skyclarys-t kapó betegek FA-ADL pontszáma körülbelül 0,2-del csökkent, szemben a placebóval kezelt betegeknél tapasztalt körülbelül 1,1-es növekedéssel.

## Milyen kockázatokkal jár a Skyclarys alkalmazása?

A Skyclarys alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Skyclarys leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a májenzimek (alanin-transzamináz és aszpartát-aminotranszferáz) megemelkedett szintje, a fejfájás, a testtömegcsökkenés, a hányinger, a hányás, a hasmenés, a fáradtságérzés, a száj- és torokfájdalom, a hátfájás, az izomgörcsök, az influenza és a csökkent étvágy.

## Miért engedélyezték a Skyclarys forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában a Friedreich-ataxiában szenvedő betegeknél jelentős kielégítetlen gyógyászati igény állt fenn, mivel a betegség kezelésére nem létezett más engedélyezett gyógyszer. A Skyclarys előnyösnek bizonyult a Friedreich-ataxiában szenvedő betegek számára. Bár a fő vizsgálatban bizonytalanságok álltak fenn, mint például a betegek kis száma, a betegség súlyos formáiban (előrehaladott szívbetegségben és cukorbetegségben) szenvedő betegek kizárása, és az olyan szövődmények, mint a pes cavus (a vizsgálat meghatározása szerint), az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy a megfigyelt előnyök ezekre a betegekre is vonatkoznak. Összességében a Skyclarys biztonságossági profilját kezelhetőnek tartották, mivel a fő vizsgálatban a mellékhatások általában enyhék vagy közepesen súlyosak voltak, és többnyire két hónapon belül megszűntek.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Skyclarys alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Skyclarys biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Skyclarys biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Skyclarys alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Skyclarys alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **A Skyclarys-szal kapcsolatos egyéb információ**

A Skyclarys-szal kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys).