



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaveloksolons*)

Skyclarys pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Skyclarys un kāpēc tās lieto?

Skyclarys ir zāles, ko lieto pacientiem no 16 gadu vecuma, lai ārstētu Frīdriha ataksiju— iedzimtu slimību, kas izraisa nervu sistēmas bojājumus, kā rezultātā rodas koordinācijas, līdzsvara un kustību traucējumi, nogurums, runas grūtības, kā arī paaugstināta kardiomiopātijas (sirds muskuļa bojājums) un diabēta risks.

Frīdriha ataksija ir reta slimība, un 2018. gada 27. jūnijā Skyclarys tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA [tīmekļa vietnē](#).

Skyclarys satur aktīvo vielu omaveloksolonu.

Kā lieto Skyclarys?

Skyclarys var iegādāties tikai pret "īpašu" recepti, kas nozīmē, ka tās tiek lietotas, piemērojot stingrākus nosacījumus nekā parasti. Šīs zāles drīkst uzsākt lietot tikai ārsta uzraudzībā, kuram ir pieredze Frīdriha ataksijas pacientu ārstēšanā.

Zāles ir pieejamas kā iekšķīgi lietojamas kapsulas vienreiz dienā. Deva var būt jāsamazina, ja pacients lieto citas zāles, ko sauc par "CYP3A inhibitoriem" un kas var ietekmēt Skyclarys noārdīšanos organismā.

Papildu informāciju par Skyclarys lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā Skyclarys darbojas?

Nav pilnībā skaidrs, kā darbojas Skyclarys aktīvā viela omaveloksolons. Tomēr ir pierādīts, ka tas aktivē Nrf2 ceļu, kas palīdz šūnām reaģēt uz oksidatīvo stresu (stāvokli, kas var rasties, ja organismā ir pārāk daudz brīvo radikāļu un nav pietiekami daudz antioksidantu, lai no tiem atbrīvotos, kā rezultātā var rasties šūnu un audu bojājumi). Šķiet, ka pacientiem ar Frīdriha ataksiju ir samazināts Nrf2 līmenis un aktivitāte.



Kādi *Skyclarys* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā, kurā piedalījās 103 pacienti ar Frīdriha ataksiju vecumā no 16 līdz 40 gadiem, *Skyclarys* bija efektīvākas nekā placebo (fiktīva ārstēšana), samazinot fiziskos traucējumus pēc 48 ārstēšanas nedēļām.

Modificēto Frīdriha ataksijas reitingu skalu (mFARS), kas sastāv no vairākiem fiziskās pārbaudes novērtējumiem, izmantoja, lai novērtētu Frīdriha ataksijas neiroloģisko simptomu (kas saistīti ar nerviem vai nervu sistēmu) smagumu. Ja mFARS rādītājs samazinās, tas nozīmē, ka mazinās arī fiziskie traucējumi.

Izliektā pēda (*pes cavus*) ir pēdu deformācija, ko bieži uzskata par Frīdriha ataksijas komplikāciju. Tā kā nav standartizētas metodes, lai klasificētu *pes cavus* smaguma pakāpi, un tā kā stāvoklis varētu ietekmēt mFARS rādītāju, pacienti ar *pes cavus* netika iekļauti primārajās analīzēs.

No 82 pacientiem bez *pes cavus*, tiem, kuri saņēma *Skyclarys*, mFARS rādītājs samazinājās par aptuveni 1,6 salīdzinājumā ar aptuveni 0,9 tiem, kuri saņēma placebo.

Pētījumā tika novērtēta arī ārstēšanas ietekme uz pacientiem FA-ADL punktu, kas tika izmantots, lai novērtētu, cik labi cilvēki ar Frīdriha ataksiju var veikt ikdienas darbības, piemēram, ģērbšanos, peldēšanos un ēst, un augstāki rādītāji liecina par augstāku invaliditātes līmeni. No 82 pacientiem bez *pes cavus*, tiem, kuri saņēma *Skyclarys*, FA-ADL rādītājs samazinājās par aptuveni 0,2 salīdzinājumā ar aptuveni 1,1 tiem, kuri saņēma placebo.

Kāds risks pastāv, lietojot *Skyclarys*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Skyclarys*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Skyclarys* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir paaugstināts aknu enzīmu līmenis (ko dēvē par alanīna transamināzi un aspartāta aminotransferāzi), galvassāpes, svara samazināšanās, slikta dūša, vemšana, caureja, noguruma sajūta, sāpes mutē un rīklē, muguras sāpes, muskuļu spazmas, gripa un samazināta ēstgriba.

Kāpēc *Skyclarys* ir reģistrētas ES?

Apstiprināšanas brīdī bija ievērojama neapmierināta medicīniska vajadzība pacientiem ar Frīdriha ataksiju, jo nebija reģistrētas citas zāles šīs slimības ārstēšanai. Tika pierādīts, ka *Skyclarys* sniedz ieguvumu pacientiem ar Frīdriha ataksiju. Lai gan bija neskaidrības saistībā ar pamatpētījumu, piemēram, neliels pacientu skaits, tādu pacientu izslēgšana, kuriem ir smagas slimības formas (kuriem ir progresējoša sirds slimība un diabēts), un komplikācijas, piemēram, *pes cavus* (kā noteikts pētījumā), aģentūra uzskatīja, ka novērotie ieguvumi attiecās arī uz šiem pacientiem. Kopumā *Skyclarys* drošuma profils tika uzskatīts par kontrolējamu, ņemot vērā, ka pamatpētījumā konstatētās blakusparādības kopumā bija vieglas līdz vidēji smagas un galvenokārt izzuda divu mēnešu laikā.

Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Skyclarys*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Skyclarys* lietošanu?

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Skyclarys* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Skyclarys* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Skyclarys* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Skyclarys*

Sīkāka informācija par *Skyclarys* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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