



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Skyclarys (*omaveloxolone*)

Ħarsa ġenerali lejn Skyclarys u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Skyclarys u għal xiex jintuża?

Skyclarys huwa mediċina li tintuża f'pazjenti li għandhom 16-il sena u aktar biex tittratta l-atassja ta' Friedreich, marda ereditarja li tikkawża ħsara fis-sistema nervuża, li tirriżulta f'diffikultajiet fil-koordinazzjoni, il-bilanċ u l-moviment, l-għeja, id-diffikultà biex titkellem, kif ukoll żieda fir-riskju ta' kardjomijopatija (ħsara lill-muskolu tal-qalb) u d-dijabete.

L-atassja ta' Friedreich hija rari, u Skyclarys ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fis-27 ta' Ġunju 2018. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab fuq [is-sit web](#) tal-EMA.

Skyclarys fih is-sustanza attiva omaveloxolone.

### Kif jintuża Skyclarys?

Skyclarys jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib "speċjali", li jfisser li jintuża taħt kundizzjonijiet aktar stretti min-normal. Il-mediċina għandha tinbeda u tiġi sorveljata biss minn tabib b'esperjenza fit-ttrattament ta' pazjenti bl-atassja ta' Friedrich.

Il-mediċina tiġi bħala kapsuli li għandhom jittieħdu mill-ħalq darba kuljum. Jista' jkun hemm bżonn li d-doża titnaqqas jekk il-pazjent ikun qed jieħu mediċini oħra msejja "inibituri ta' CYP3A" li jistgħu jinterferixxu mal-mod kif Skyclarys jtkisser fil-ġisem.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Skyclarys, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

### Kif jaħdem Skyclarys?

Mhuwiex mifhum b'mod sħiħ kif jaħdem is-sustanza attiva fi Skyclarys, l-omaveloxolone. Madankollu, intwera li jattiva l-perkors Nrf2, li jgħin liċ-ċelloli jirreaġixxu għall-istress ossidattiv (kundizzjoni li tista' sseħħ meta jkun hemm wisq radikali ħielsa fil-ġisem u mhux biżżejjed antiossidanti biex jehilsu minnhom, li tista' twassal għal ħsara fiċ-ċelloli u fit-tessuti). Il-livelli u l-attività ta' Nrf2 jidhru li jitnaqqsu f'pazjenti bl-atassja ta' 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



## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Skyclarys li ħarġu mill-istudji?**

Fi studju ewlieni li involva 103 pazjenti bl-atassja ta' Friedreich ta' bejn is-16-il sena u l-40 sena, Skyclarys kien aktar effettiv minn placebo (trattament fint) biex inaqqas l-indeboliment fiżiku wara 48 ġimgħa ta' trattament.

L-iskala ta' klassifikazzjoni tal-atassja ta' Friedreich (mFARS) modifikata, li tikkonsisti f'serje ta' valutazzjonijiet ta' eżaminazzjoni fiżika, intużat biex tivvaluta s-severità tas-sintomi newroloġiċi (li jkollhom x'jaqsmu man-nervituri jew mas-sistema nervuża) tal-atassja ta' Friedreich. Jekk il-punteġġ mFARS jonqos, dan ifisser li jkun hemm tnaqqis fl-indeboliment fiżiku.

Pes cavus huwa deformità fis-sieq ħafna drabi meqjusa bħala kumplikazzjoni tal-atassja ta' Friedreich. Peress li ma hemm l-ebda metodu standardizzat għall-klassifikazzjoni tas-severità tal-pes cavus u minħabba l-impatt possibbli tal-kundizzjoni fuq il-punteġġ mFARS, il-pazjenti b'pes cavus ma kinux inkluzi fl-analiżi primarja.

Fi 82 pazjent mingħajr pes cavus, dawk li ngħataw Skyclarys kellhom tnaqqis ta' madwar 1.6 fil-punteġġ mFARS tagħhom meta mqabbel ma' zieda ta' madwar 0.9 f'dawk li ngħataw placebo.

L-istudju evalwa wkoll l-impatt tat-trattament fuq il-punteġġ FA-ADL tal-pazjenti, miżura li tintuża biex jiġi vvalutat kemm in-nies b'atassja ta' Friedrich jistgħu jwettqu attivitajiet ta' għajxien ta' kuljum, bħall-ilbies, l-għawm, u l-ikel, b'punteġġi oġhla li jindikaw livelli oġhla ta' diżabilità. Mit-82 pazjent mingħajr pes cavus, dawk li ngħataw Skyclarys kellhom tnaqqis ta' madwar 0.2 fil-punteġġ FA-ADL tagħhom meta mqabbla ma' zieda ta' madwar 1.1 f'dawk li ngħataw il-placebo.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Skyclarys?**

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet bi Skyclarys, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni bi Skyclarys (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu zieda fil-livelli tal-enzimi tal-fwied (magħrufa bħala alanine transaminase u aspartate aminotransferase), uġiġħ ta' ras, tnaqqis fil-piż, tħossok ma tiflaħx, rimettar, dijarea, tħossok għajjien, uġiġħ fil-ħalq u fil-gerżuma, uġiġħ fid-dahar, spażmi fil-muskoli, influwenza u tnaqqis fl-aptit.

## **Għaliex Skyclarys ġie awtorizzat fl-UE?**

Fiż-żmien tal-approvazzjoni, kien hemm ħtieġa medika sinifikanti mhux issodisfata għall-pazjenti bl-atassja ta' Friedreich peress li ma kien hemm l-ebda mediċina oħra awtorizzata għat-trattament tal-marda. Intwera li Skyclarys huwa ta' benefiċċju għall-pazjenti bl-atassja ta' Friedreich. Għalkemm kien hemm incertezzi assoċjati mal-istudju ewlieni, bħan-numru żgħir ta' pazjenti, l-eskluzjoni ta' pazjenti b'forom severi tal-marda (dawk b'mard tal-qalb u dijabete avvanzati) u kumplikazzjonijiet bħal pes cavus (kif definit fl-istudju), l-Aġenzija kkunsidrat li l-benefiċċji li dehru applikaw ukoll għal dawn il-pazjenti. B'mod ġenerali, il-profil tas-sigurtà ta' Skyclarys tqies maniġġabbli minħabba li l-effetti sekondarji fl-istudju ewlieni kienu ġeneralment ħfief sa moderati fis-severità u fil-biċċa l-kbira ġew riżolti fi żmien xahrejn.

Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Skyclarys huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

## **X'mizuri qeghdin jittiehdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Skyclarys?**

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Skyclarys.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Skyclarys hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati bi Skyclarys huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tippoteġi lill-pazjenti.

### **Informazzjoni oħra dwar Skyclarys**

Aktar informazzjoni dwar Skyclarys tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/syclarys](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/syclarys).