



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaveloxolon*)

Een overzicht van Skyclarys en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Skyclarys en wanneer wordt het voorgeschreven?

Skyclarys is een geneesmiddel dat wordt gebruikt bij patiënten van 16 jaar en ouder voor de behandeling van ataxie van Friedreich, een erfelijke ziekte die schade aan het zenuwstelsel veroorzaakt, met als gevolg problemen met coördinatie, balans en beweging, vermoeidheid, moeite om te spreken, alsook een verhoogd risico op cardiomyopathie (schade aan de hartspier) en diabetes.

Ataxie van Friedreich is zeldzaam, en Skyclarys werd op 27 juni 2018 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Skyclarys bevat de werkzame stof omaveloxolon.

Hoe wordt Skyclarys gebruikt?

Skyclarys is uitsluitend op 'bijzonder' doktersvoorschrift verkrijgbaar, wat betekent dat het wordt gebruikt onder strengere voorwaarden dan normaal. De behandeling met Skyclarys mag alleen worden gestart door en onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met ataxie van Friedrich.

Het geneesmiddel is verkrijgbaar in de vorm van capsules die eenmaal daags via de mond moeten worden ingenomen. Het kan nodig zijn de dosis te verlagen als de patiënt andere geneesmiddelen – zogeheten 'CYP3A-remmers' – gebruikt die de manier waarop Skyclarys in het lichaam wordt afgebroken kunnen verstoren.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Skyclarys.

Hoe werkt Skyclarys?

Het is niet helemaal duidelijk hoe de werkzame stof in Skyclarys, omaveloxolon, werkt. Er is echter aangetoond dat het de Nrf2-route activeert, die cellen helpt te reageren op oxidatieve stress (een aandoening die kan optreden wanneer er te veel vrije radicalen in het lichaam aanwezig zijn en niet genoeg antioxidanten om deze te verwijderen, wat kan leiden tot schade aan cellen en weefsels). De Nrf2-niveaus en -activiteit lijken te zijn afgenomen bij patiënten met ataxie van 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
Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Welke voordelen bleek Skylarys tijdens de studies te hebben?

In een hoofdstudie onder 103 patiënten met ataxie van Friedreich die tussen 16 en 40 jaar oud waren, was Skylarys werkzaam dan placebo (een schijnbehandeling) bij het verminderen van de lichamelijke beperking na 48 weken behandeling.

De gemodificeerde beoordelingsschaal voor ataxie van Friedreich (mFARS), die bestaat uit een reeks fysieke onderzoeksbeoordelingen, werd gebruikt om de ernst van de neurologische symptomen (te maken hebbend met zenuwen of het zenuwstelsel) van ataxie van Friedreich te beoordelen. Als de mFARS-score daalt, betekent dit dat er sprake is van een vermindering van de fysieke beperking.

Pes cavus (holvoet) is een voetvervorming die vaak wordt gezien als een complicatie van ataxie van Friedreich. Aangezien er geen gestandaardiseerde methode bestaat voor het indelen van de ernst van pes cavus en vanwege de mogelijke invloed van de aandoening op de mFARS-score, werden patiënten met pes cavus niet in de primaire analyses opgenomen.

Bij 82 patiënten zonder pes cavus was de mFARS-score van de patiënten die Skylarys kregen met ongeveer 1,6 gedaald, ten opzichte van een stijging van ongeveer 0,9 bij degenen die placebo kregen.

In de studie werd ook het effect van de behandeling op de FA-ADL-score van de patiënten geëvalueerd, een maatstaf die werd gebruikt om te beoordelen hoe goed mensen met ataxie van Friedreich activiteiten van het dagelijks leven kunnen verrichten, zoals aankleden, zwemmen en eten, waarbij hogere scores wijzen op een grotere mate van invaliditeit. Van de 82 patiënten zonder pes cavus vertoonden degenen die Skylarys kregen een daling van ongeveer 0,2 van hun FA-ADL-score, vergeleken met een stijging van ongeveer 1,1 bij degenen die placebo kregen.

Welke risico's houdt het gebruik van Skylarys in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Skylarys.

De meest voorkomende bijwerkingen van Skylarys (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn verhoogde concentraties leverenzymen (bekend als alaninetransaminase en aspartaataminotransferase), hoofdpijn, gewichtsverlies, misselijkheid, braken, diarree, vermoeidheid, mond- en keelpijn, rugpijn, spierspasmen, griep en verminderde eetlust.

Waarom is Skylarys geregistreerd in de EU?

Ten tijde van de goedkeuring was er een aanzienlijke onervulde medische behoefte voor patiënten met ataxie van Friedreich, aangezien er voor de behandeling van de ziekte geen andere geneesmiddelen waren goedgekeurd. Er is aangetoond dat patiënten met ataxie van Friedreich baat hebben bij Skylarys. Hoewel er onzekerheden waren die verband hielden met de hoofdstudie, zoals het kleine aantal patiënten, de uitsluiting van patiënten met ernstige vormen van de ziekte (patiënten met een gevorderde hartaandoening en diabetes) en complicaties zoals pes cavus (zoals gedefinieerd in de studie), was het Geneesmiddelenbureau van mening dat de waargenomen voordelen ook op deze patiënten van toepassing waren. Over het geheel genomen werd het veiligheidsprofiel van Skylarys als beheersbaar beschouwd, aangezien de bijwerkingen in het hoofdonderzoek over het algemeen licht tot matig van aard waren en grotendeels binnen twee maanden verdwenen waren.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Skylarys groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Skyclarys te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Skyclarys, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Skyclarys continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Skyclarys worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Skyclarys

Meer informatie over Skyclarys is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys.