



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaweloksolon*)

Przegląd wiedzy na temat leku Skyclarys i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Skyclarys i w jakim celu się go stosuje

Skyclarys jest lekiem stosowanym u pacjentów w wieku od 16 lat w leczeniu ataksji Friedreicha, choroby dziedzicznej, która powoduje uszkodzenie układu nerwowego, co prowadzi do trudności z koordynacją, równowagą i ruchem, zmęczeniem, trudnościami w mówieniu, a także zwiększonego ryzyka kardiomiopatii (uszkodzenia mięśnia sercowego) i cukrzycy.

Ze względu na to, że ataksja Friedreicha jest chorobą rzadko występującą, w dniu 27 czerwca 2018 r. lek Skyclarys uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Skyclarys jest omaweloksolon.

Jak stosować lek Skyclarys

Lek wydawany na specjalną receptę. Oznacza to, że lek jest stosowany na bardziej rygorystycznych warunkach niż zwykle. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz z doświadczeniem w leczeniu pacjentów z ataksją Friedricha.

Lek jest dostępny w postaci kapsułek do podawania doustnego raz na dobę. Konieczne może być zmniejszenie dawki, jeżeli pacjent przyjmuje inne leki zwane inhibitorami CYP3A, które mogą zakłócać sposób rozkładania leku Skyclarys w organizmie.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Skyclarys znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Skyclarys

Działanie omaweloksolonu, substancji czynnej zawartej w leku Skyclarys, nie jest w pełni poznane. Wykazano jednak, że aktywacja szlaku Nrf2 pomaga komórkom reagować na stres oksydacyjny (stan, który może wystąpić, gdy w organizmie występuje zbyt duża ilość wolnych rodników i niewystarczająca ilość przeciwutleniaczy, co może prowadzić do uszkodzenia komórek i tkanek). U pacjentów z ataksją Friedreicha stężenie i aktywność Nrf2 wydają się być zmniejszone.

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



Korzyści ze stosowania leku Skyclarys wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 103 pacjentów w wieku od 16 do 40 lat z ataksją Friedreicha lek Skyclarys okazał się skuteczniejszy niż placebo (leczenie pozorowane) w zmniejszaniu upośledzenia fizycznego po 48 tygodniach leczenia.

Zmodyfikowana skala oceny ataksji Friedreicha (ang. *modified Friedreich's ataxia rating scale*, mFARS), która składa się z serii ocen z badań fizycznych, została wykorzystana do oceny nasilenia objawów neurologicznych (związanych z nerwami lub układem nerwowym) powodowanych przez ataksję Friedreicha. Jeśli wynik mFARS spada, oznacza to zmniejszenie upośledzenia fizycznego.

Często obserwowanym powikłaniem ataksji Friedreicha jest zniekształcenie stopy zwane stopą wydrążoną. Ze względu na brak ustandaryzowanej metody klasyfikacji dotkliwosci stopy wydrążonej i ze względu na możliwy wpływ choroby na wynik mFARS, pacjentów ze stopą wydrążoną nie uwzględniano w analizach podstawowych.

Wśród 82 pacjentów bez stopy wydrążonej, u osób otrzymujących lek Skyclarys doszło do zmniejszenia wyniku w skali mFARS o około 1,6 natomiast u osób otrzymujących placebo odnotowano wzrost o około 0,9.

W badaniu oceniono również wpływ leczenia na wynik w skali FA-ADL u pacjentów, która jest miarą oceny stopnia, w jakim osoby z ataksją Friedreicha są w stanie wykonywać czynności związane z życiem codziennym, takie jak ubieranie, kąpiel i jedzenie. Im wynik ten jest wyższy tym większa niepełnosprawność. Spośród 82 pacjentów bez stopy wydrążonej, u osób przyjmujących lek Skyclarys wynik FA-ADL obniżył się o około 0,2 w porównaniu ze wzrostem o około 1,1 u osób otrzymujących placebo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Skyclarys

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Skyclarys znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Skyclarys (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: podwyższone stężenie enzymów wątrobowych (zwanymi transferazą alaninową i aminotransferazą asparaginianową), ból głowy, zmniejszenie masy ciała, nudności, wymioty, biegunka, uczucie zmęczenia, ból jamy ustnej i gardła, ból pleców, skurcze mięśni, grypa i zmniejszenie łaknienia.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Skyclarys w UE

W momencie dopuszczenia do obrotu stwierdzono znaczne niezaspokojone potrzeby medyczne pacjentów z ataksją Friedreicha, biorąc pod uwagę, że nie istnieją żadne inne leki zatwierdzone do stosowania w leczeniu tej choroby. Wykazano, że lek Skyclarys przynosi korzyści pacjentom z ataksją Friedreicha. Chociaż istniały wątpliwości związane z badaniem głównym, takie jak niewielka liczba pacjentów, wykluczenie pacjentów z ciężkimi postaciami choroby (osób z zaawansowaną chorobą serca i cukrzycą) oraz powikłaniami, takimi jak stopa wydrążona (jak określono w badaniu), Agencja uznała, że obserwowane korzyści mają również zastosowanie do tych pacjentów. Ogólnie rzecz biorąc, profil bezpieczeństwa leku Skyclarys uznano za akceptowalny, biorąc pod uwagę, że działania niepożądane w badaniu głównym były na ogół łagodne lub umiarkowane, a w większości przypadków ustąpiły w ciągu dwóch miesięcy.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Skyclarys przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Skyclarys

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Skyclarys w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Skyclarys są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Skyclarys są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Skyclarys

Dalsze informacje dotyczące leku Skyclarys znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys.