

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

Skyclarys (*omaveloxolona*)

Um resumo sobre Skyclarys e por que está autorizado na UE

O que é Skyclarys e para que é utilizado?

Skyclarys é um medicamento utilizado em doentes com idade igual ou superior a 16 anos para o tratamento da ataxia de Friedreich, uma doença hereditária que causa danos no sistema nervoso, resultando em dificuldades de coordenação, equilíbrio e movimento, fadiga, dificuldade em falar, bem como num risco aumentado de cardiomiopatia (danos no músculo cardíaco) e diabetes.

A ataxia de Friedreich é uma doença rara, e Skyclarys foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 27 de junho de 2018. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web](#) da EMA.

Skyclarys contém a substância ativa omaveloxolona.

Como se utiliza Skyclarys?

Skyclarys só pode ser obtido mediante receita médica «especial», ou seja, é utilizado em condições mais rigorosas do que o normal. O medicamento só deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com a ataxia de Friedreich.

O medicamento está disponível na forma de cápsulas a tomar por via oral uma vez por dia. Pode ser necessário reduzir a dose se o doente estiver a tomar outros medicamentos chamados inibidores da CYP3A, que podem interferir com a forma como Skyclarys é degradado no organismo.

Para mais informações sobre a utilização de Skyclarys, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Skyclarys?

O modo de funcionamento da substância ativa de Skyclarys, a omaveloxolona, não é totalmente compreendido. No entanto, foi demonstrado ativar a via Nrf2, o que ajuda as células a responder ao stress oxidativo (uma patologia que pode ocorrer quando há demasiados radicais livres no corpo e não em quantidade suficiente de antioxidantes para eliminar os mesmos, o que pode causar danos nas células e nos tecidos). Os níveis e a atividade de Nrf2 parecem ser reduzidos em doentes com ataxia de 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



Quais os benefícios demonstrados por Skyclarys durante os estudos?

Num estudo principal que incluiu 103 doentes com ataxia de Friedreich com idades compreendidas entre os 16 e os 40 anos, Skyclarys foi mais eficaz do que o placebo (um tratamento simulado) na redução da incapacidade física após 48 semanas de tratamento.

A escala de classificação da ataxia de Friedreich modificada (mFARS), que consiste numa série de avaliações de exames físicos, foi utilizada para avaliar a gravidade dos sintomas neurológicos (relacionados com os nervos ou o sistema nervoso) da ataxia de Friedreich. Se a pontuação da mFARS diminuir, isso significa que existe uma redução na insuficiência física.

O pes cavus é uma deformidade do pé, frequentemente vista como uma complicação da ataxia de Friedreich. Uma vez que não existe um método normalizado para classificar a gravidade do pes cavus e devido ao possível impacto da doença na pontuação do mFARS, os doentes com pes cavus não foram incluídos nas análises primárias.

Em 82 doentes sem pes cavus, os doentes que receberam Skyclarys apresentaram uma redução de cerca de 1,6 na pontuação do seu mFARS, em comparação com um aumento de cerca de 0,9 nos doentes que receberam o placebo.

O estudo também avaliou o impacto do tratamento na pontuação FA-ADL dos doentes, uma medida utilizada para avaliar até que ponto as pessoas com ataxia de Friedreich podem realizar as atividades da vida diária, como vestir-se, banhar-se e comer, com pontuações mais elevadas a indicar maiores níveis de incapacidade. Dos 82 doentes sem pes cavus, os que receberam o Skyclarys apresentaram uma redução de cerca de 0,2 na pontuação da FA-ADL, em comparação com um aumento de cerca de 1,1 nos que receberam o placebo.

Quais são os riscos associados a Skyclarys?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Skyclarys, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Skyclarys (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem aumento dos níveis das enzimas hepáticas (conhecida como alanina aminotransferase e aspartato aminotransferase), dor de cabeça, diminuição do peso, sensação de enjoo, vômitos, diarreia, sensação de cansaço, dor na boca e na garganta, dores nas costas, espasmos musculares, gripe e diminuição do apetite.

Porque está Skyclarys autorizado na UE?

No momento da aprovação, existia uma necessidade médica significativa não satisfeita para os doentes com ataxia de Friedreich, uma vez que não existiam outros medicamentos autorizados para o tratamento da doença. Skyclarys demonstrou ser benéfico para os doentes com ataxia de Friedreich. Apesar de existirem incertezas associadas ao estudo principal, tais como o pequeno número de doentes, a exclusão de doentes com formas graves da doença (doentes com doença cardíaca avançada e diabetes) e complicações como o pes cavus (conforme definido no estudo), a Agência considerou que os benefícios observados também se aplicavam a estes doentes. Globalmente, o perfil de segurança de Skyclarys foi considerado controlável, uma vez que os efeitos secundários no estudo principal foram, de um modo geral, de gravidade ligeira a moderada e, na sua maioria, resolvidos no prazo de dois meses.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Skyclarys são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Skyclarys?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Skyclarys.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Skyclarys são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Skyclarys são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Skyclarys

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys.