



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaveloxolonă*)

Prezentare generală a Skyclarys și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Skyclarys și pentru ce se utilizează?

Skyclarys este un medicament utilizat la pacienți cu vârsta de cel puțin 16 ani pentru tratamentul ataxiei Friedreich, o boală ereditară care provoacă leziuni ale sistemului nervos, cauzând dificultăți de coordonare, echilibru și mișcare, oboseală, dificultăți de vorbire, precum și un risc crescut de cardiomiopatie (afectarea mușchiului inimii) și diabet.

Ataxia Friedreich este rară, iar Skyclarys a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 27 iunie 2018. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](#) EMA.

Skyclarys conține substanța activă omaveloxolonă.

Cum se utilizează Skyclarys?

Skyclarys se poate obține numai pe bază de prescripție medicală „specială”, ceea ce înseamnă că se utilizează în condiții mai stricte decât normale. Medicamentul trebuie inițiat și supravegheat numai de un medic cu experiență în tratamentul pacienților cu ataxia Friedreich.

Medicamentul este disponibil sub formă de capsule care se administrează pe cale orală o dată pe zi. Poate fi necesară reducerea dozei dacă pacientul ia și alte medicamente, numite „inhibitori ai CYP3A”, care pot interfera cu modul în care Skyclarys este descompus în organism.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Skyclarys, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Skyclarys?

Nu se înțelege pe deplin cum acționează substanța activă din Skyclarys, omaveloxolona. S-a demonstrat însă că activează calea Nrf2, care ajută celulele să răspundă la stresul oxidativ (afecțiune care poate apărea când în organism există prea mulți radicali liberi și nu există suficienți antioxidanți pentru a-i elimina, ceea ce poate duce la deteriorarea celulelor și țesuturilor). Nivelul și activitatea Nrf2 par să se reducă la pacienții cu ataxia 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



Ce beneficii a prezentat Skyclarys pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal care a cuprins 103 pacienți cu ataxie Friedreich cu vârste cuprinse între 16 și 40 de ani, Skyclarys a fost mai eficace decât placebo (un preparat inactiv) în reducerea afectării fizice după 48 de săptămâni de tratament.

Pentru a evalua gravitatea simptomelor neurologice (legate de nervi sau de sistemul nervos) ale ataxiei Friedreich s-a folosit scara modificată de evaluare a ataxiei Friedreich (mFARS), care constă într-o serie de evaluări prin examene fizice. Dacă scorul mFARS scade, înseamnă că există o reducere a afectării fizice.

Pes cavus este o malformație a piciorului considerată adesea ca o complicație a ataxiei Friedreich. Întrucât nu există o metodă standardizată de clasificare a gravității pes cavus și din cauza impactului posibil al afecțiunii asupra scorului mFARS, în analizele primare nu au fost incluși pacienți cu pes cavus.

La 82 de pacienți fără pes cavus, cei cărora li s-a administrat Skyclarys au avut o reducere de aproximativ 1,6 a scorului mFARS, față de o creștere de aproximativ 0,9 la cei cărora li s-a administrat placebo.

Studiul a evaluat și impactul tratamentului asupra scorului FA-ADL al pacienților, o măsură folosită pentru a evalua cât de bine pot efectua persoanele cu ataxie Friedreich activități zilnice, de exemplu să se îmbrace, să facă baie și să mănânce, scoruri mai mari indicând niveluri mai ridicate de handicap/afectare?. Din cei 82 de pacienți fără pes cavus, cei cărora li s-a administrat Skyclarys au avut o reducere de aproximativ 0,2 a scorului FA-ADL, față de o creștere de aproximativ 1,1 la cei cărora li s-a administrat placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Skyclarys?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Skyclarys, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Skyclarys (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt valori crescute ale enzimelor hepatice (numite alanin transaminază și aspartat aminotransferază), dureri de cap, scădere în greutate, greață, vărsături, diaree, oboseală, dureri la nivelul gurii și gâtului, dureri de spate, spasme musculare, gripă și scăderea poftei de mâncare.

De ce a fost autorizat Skyclarys în UE?

La momentul aprobării, pentru pacienții cu ataxie Friedreich exista o importantă nevoie medicală nesatisfăcută, având în vedere că nu existau alte medicamente autorizate pentru tratamentul bolii. S-a demonstrat că Skyclarys aduce beneficii pacienților cu ataxie Friedreich. Deși existau incertitudini asociate cu studiul principal, de exemplu numărul mic de pacienți, excluderea pacienților cu forme severe ale bolii (cei cu boli cardiace avansate și diabet) și complicații precum pes cavus (așa cum sunt definite în studiu), agenția a considerat că beneficiile observate se aplică și acestor pacienți. În general, profilul de siguranță al Skyclarys a fost considerat gestionabil terapeutic, având în vedere că reacțiile adverse din studiul principal au fost, în general, ușoare până la moderate ca severitate, iar majoritatea au dispărut în decurs de două luni.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Skyclarys sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Skyclarys?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Skyclarys, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Skyclarys sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Skyclarys sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Skyclarys

Mai multe informații despre Skyclarys se pot găsi pe site-ul agenției:

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