



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/294053/2021
EMA/H/C/003690

Skysona (*celule CD34+ autologe care codifică gena ABCD1*)

Prezentare generală a Skysona și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Skysona și pentru ce se utilizează?

Skysona este un medicament care se utilizează pentru tratarea copiilor cu vârsta sub 18 ani care au adrenoleucodistrofie cerebrală (CALD) precoce. Adrenoleucodistrofia cerebrală este o tulburare ereditară rară în care există o modificare (mutație) a genei *ABCD1*. Această mutație împiedică producerea enzimei ALDP (proteina adrenoleucodistrofiei), care descompune substanțele grase din organism numite acizi grași cu lanț foarte lung (VLCFA). Prin urmare, VLCFA se acumulează și duc la inflamația și distrugerea tecii protectoare (mielinei) care protejează și îmbunătățește funcționarea nervilor. Adrenoleucodistrofia cerebrală apare aproape exclusiv la bărbați.

Skysona se administrează când nu este disponibil un donator pentru un transplant de celule stem hematopoietice (o procedură prin care măduva pacientului este golită de celule, acestea fiind înlocuite cu celule sănătoase de măduvă osoasă).

Skysona este un tip de medicament pentru terapie avansată numit „terapie genică”. Acest tip de medicament acționează prin eliberarea de gene în organism. Substanța activă din Skysona este alcătuită din celule stem (celule CD34+), derivate din măduva sau din sângele pacientului, care au fost modificate pentru a conține o copie a genei care să producă un ALDP funcțional și care se pot divide pentru a produce alte tipuri de celule sanguine.

Adrenoleucodistrofia cerebrală este rară, iar Skysona a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 13 aprilie 2007. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121003>

Cum se utilizează Skysona?

Skysona poate fi administrat numai pacientului ale cărui celule au fost utilizate pentru producerea medicamentului. Se administrează într-un singur ciclu de tratament, sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă), iar doza depinde de greutatea pacientului. Cu câteva zile înainte de tratament, se administrează un alt medicament, de exemplu busulfan, ca așa-numit tratament de condiționare, pentru a elimina celulele de măduvă existente și a le înlocui cu celulele modificate din Skysona.

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



Skysona se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie administrat numai într-un centru specializat, de către un medic cu experiență în transplantul de celule stem hematopoietice și în tratamentul pacienților cu tulburări ale sistemului nervos.

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

Cum acționează Skysona?

Pentru a produce Skysona, se extrag din sânge sau din măduvă celule CD34+ (celule care pot produce globule albe). În celulele CD34+ se introduce o genă care le permite să producă ALDP, utilizând un tip de virus numit lentivirus, care a fost modificat genetic pentru a transporta gena ALDP în celule fără să cauzeze o boală virală la om.

După readministrarea în vena pacientului, Skysona este transportat prin sânge în măduvă, unde celulele CD34+ încep să se dezvolte și să producă globule albe normale care pot produce ALDP. Aceste globule albe se răspândesc în organism și produc ALDP, ceea ce ajută la descompunerea substanțelor grase din celulele din jur și la controlul simptomelor bolii. Se preconizează că efectele vor fi de lungă durată.

Ce beneficii a prezentat Skysona pe parcursul studiilor?

Beneficiile Skysona în tratamentul CALD au fost demonstrate într-un studiu principal care a cuprins 30 de băieți cu vârste cuprinse între 4 și 14 ani cu CALD precoce.

După doi ani, 90 % din băieții tratați nu au prezentat semne de afectare neurologică majoră, cum ar fi pierderea capacității de a vorbi, pierderea capacității de a se hrăni, dependența de fotoliul rulant, orbirea sau incontinența. Acest rezultat a putut fi comparat cu 29 % într-un grup similar de băieți netratați, dintr-un studiu separat.

De asemenea, aproximativ 96 % din băieți au prezentat un scor stabil conform evaluării funcției neurologice grosiere (o valoare care măsoară capacitatea unui copil în creștere de a face mișcări normale, cum ar fi mersul târâș, ridicarea în picioare și mersul) după doi ani. Au existat dovezi ale continuării beneficiilor după 8 ani.

Care sunt riscurile asociate cu Skysona?

Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Skysona (care poate afecta mai mult de 1 persoană din 10) este pancitopenia (număr mic de celule sanguine).

Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Skysona, citiți prospectul.

Când se utilizează Skysona, trebuie să se țină seama de restricțiile pentru tratamentul de condiționare și pentru agenții de mobilizare. Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Skysona în UE?

Pe baza rezultatelor unui studiu principal, s-a demonstrat că Skysona stabilizează boala prin prevenirea inflamației suplimentare și a distrugerii mielinei celulelor nervoase la pacienții cu CALD la doi ani după tratament. Deși efectele benefice asociate cu Skysona au durat mai mulți ani, nu este încă clar dacă pot dura toată viața, o urmărire mai îndelungată fiind necesară. Deoarece CALD este o boală rară, studiile sunt mici, iar datele disponibile privind reacțiile adverse sunt limitate și vor necesita, de asemenea, o urmărire pe termen lung. Cu toate acestea, reacțiile adverse observate până în prezent au fost în concordanță cu cele așteptate pentru acest tip de tratament. Date fiind gravitatea afecțiunii

și lipsa de tratamente, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Skysona 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 Skysona?

Compania care comercializează Skysona va efectua două studii pe termen lung și va prezenta rezultatele, pentru a furniza informații suplimentare cu privire la beneficiile și siguranța medicamentului. În plus, compania va furniza materiale educaționale pentru personalul medical și pacienți sau îngrijitorii acestora cu privire la utilizarea Skysona și la modul în care pacienții trebuie monitorizați. Pacienții vor primi, de asemenea, un card de avertizare pentru pacienți cu privire la tratamentul pe care îl urmează, pe care să îl prezinte când primesc asistență medicală.

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

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

Alte informații despre Skysona

Informații suplimentare cu privire la Skysona sunt disponibile pe site-ul agenției:

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