



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaveloxolón*)

Prehľad o lieku Skyclarys a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Skyclarys a na čo sa používa?

Liek Skyclarys sa používa u pacientov vo veku od 16 rokov na liečbu Friedreichovej ataxie, dedičného ochorenia, ktoré spôsobuje poškodenie nervového systému, čo vedie k problémom s koordináciou, rovnováhou a pohybom, únave, ťažkostiam pri rozprávaní, ako aj k zvýšenému riziku kardiomyopatie (poškodenia srdcového svalu) a cukrovky.

Friedreichova ataxia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Skyclarys 27. júna 2018 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Skyclarys obsahuje liečivo omaveloxolón.

Ako sa liek Skyclarys používa?

Výdaj lieku Skyclarys je viazaný na tzv. osobitný lekársky predpis, čo znamená, že sa používa za prísnejších podmienok ako je bežné. Liečbu liekom má začať a sledovať iba lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s Friedreichovou ataxiou.

Liek je k dispozícii vo forme kapsúl, ktoré sa užívajú ústami jedenkrát denne. Dávku bude možno potrebné znížiť, ak pacient užíva iné lieky nazývané inhibítory CYP3A, ktoré môžu ovplyvňovať spôsob, akým sa liek Skyclarys rozkladá v tele.

Viac informácií o používaní lieku Skyclarys si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

Akým spôsobom liek Skyclarys účinkuje?

Nie je úplne známe, ako liečivo lieku Skyclarys, omaveloxolón, pôsobí. Ukázalo sa však, že aktivuje dráhu Nrf2, ktorá pomáha bunkám reagovať na oxidačný stres (stav, ktorý sa môže vyskytnúť, keď je v tele príliš veľa voľných radikálov a nie je dostatok antioxidantov na ich odstránenie, čo môže viesť k poškodeniu buniek a tkanív). Zdá sa, že hladiny a aktivita Nrf2 sú u pacientov s Friedreichovou ataxiou znížené.



Aké prínosy lieku Skyclarys boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 103 pacientov s Friedreichovou ataxiou vo veku od 16 do 40 rokov, bol liek Skyclarys po 48 týždňoch liečby účinnejší ako placebo (zdanlivý liek) pri znižovaní telesného postihnutia.

Modifikovaná stupnica hodnotenia Friedreichovej ataxie (mFARS), ktorá pozostáva zo série hodnotení fyzického vyšetrenia, sa použila na posúdenie závažnosti neurológie (osoby s nervami alebo nervovým systémom) symptómov Friedreichovej ataxie. Ak sa skóre mFARS zníži, znamená to, že dochádza k zníženiu telesného postihnutia.

Pes cavus je deformácia nôh, ktorá sa často vníma ako komplikácia Friedreichskej ataxie. Keďže nie je k dispozícii štandardizovaná metóda na klasifikáciu závažnosti pes cavus a vzhľadom na možný vplyv ochorenia na skóre mFARS, pacienti s ochorením pes cavus neboli zahrnutí do primárnych analýz.

U 82 pacientov bez pes cavus sa u tých, ktorí dostávali liek Skyclarys, zaznamenalo zníženie skóre mFARS približne o 1,6 v porovnaní so zvýšením o približne 0,9 u tých, ktorí dostávali placebo.

V štúdii sa hodnotil aj vplyv liečby na skóre FA-ADL pacientov, ktoré sa používa na posúdenie toho, do akej miery môžu ľudia s Friedreichovou ataxiou vykonávať činnosti každodenného života, ako je obliekanie, kúpanie a stravovanie, pričom vyšší počet bodov znamená vyššiu mieru zdravotného postihnutia. Z 82 pacientov bez pes cavus sa u pacientov, ktorí dostávali liek Skyclarys, znížilo skóre FA-ADL približne o 0,2 v porovnaní so zvýšením o približne 1,1 u pacientov, ktorým bolo podávané placebo.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Skyclarys?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Skyclarys a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Skyclarys (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú zvýšená hladina pečeňových enzýmov (známych ako alaníntransamináza a aspartátaminotransferáza), bolesť hlavy, zníženie hmotnosti, pocit nevoľnosti, vracanie, hnačka, pocit únavy, bolesť úst a hrdla, bolesť chrbta, svalové kŕče, chrípka a znížená chuť do jedla.

Prečo bol liek Skyclarys povolený v EÚ?

V čase schválenia existovala značná neuspokojená potreba liečby u pacientov s Friedreichovou ataxiou vzhľadom na to, že na liečbu tohto ochorenia neboli povolené žiadne iné lieky. Preukázalo sa, že liek Skyclarys je prínosom pre pacientov s Friedreichovou ataxiou. Aj keď sa vyskytli nejasnosti súvisiace s hlavnou štúdiou, napríklad malý počet pacientov, vylúčenie pacientov so závažnými formami ochorenia (pacientov s pokročilým ochorením srdca a cukrovkou) a komplikáciami, ako napr. pes cavus (definované v štúdii), agentúra usúdila, že pozorované prínosy sa vzťahujú aj na týchto pacientov. Bezpečnostný profil lieku Skyclarys sa celkovo považoval za zvládnutelný vzhľadom na to, že vedľajšie účinky v hlavnej štúdii boli zvyčajne mierne až stredne závažné a väčšinou odznali do dvoch mesiacov.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Skyclarys sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Skyclarys?

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Skyclarys boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Skyclarys sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Skyclarys sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Skyclarys

Ďalšie informácie o lieku Skyclarys sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys.