



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaveloksolon*)

Pregled zdravila Skyclarys in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Skyclarys in za kaj se uporablja?

Zdravilo Skyclarys se uporablja pri bolnikih, starih 16 let ali več, za zdravljenje Friedreichove ataksije, tj. dedne bolezni, ki povzroča poškodbe živčnega sistema, kar privede do težav s koordinacijo, ravnotežjem in gibanjem, utrujenosti, težav z govorom ter povečanega tveganja za kardiomiopatijo (poškodbe srčne mišice) in sladkorne bolezni.

Friedreichova ataksija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Skyclarys 27. junija 2018 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Skyclarys vsebuje učinkovino omaveloksolon.

Kako se zdravilo Skyclarys uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Skyclarys je le na „poseben“ recept, kar pomeni, da se uporablja pod strožjimi pogoji kot običajno. Zdravljenje z zdravilom sme uvesti in nadzorovati le zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov s Friedrichovo ataksijo.

Zdravilo je na voljo v obliki kapsul, ki se jemljejo peroralno enkrat na dan. Odmerek bo morda treba zmanjšati, če bolnik jemlje druga zdravila, imenovana „zaviralci CYP3A“, ki bi lahko vplivala na način razgradnje zdravila Skyclarys v telesu.

Za več informacij glede uporabe zdravila Skyclarys glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Skyclarys deluje?

Način delovanja učinkovine v zdravilu Skyclarys, omaveloksolon, še ni v celoti znan, se je pa že izkazalo, da aktivira pot Nrf2, ki celicam pomaga pri odzivanju na oksidativni stres (stanje, ki se lahko pojavi, ko je v telesu preveč prostih radikalov in ne dovolj antioksidantov, da bi jih odstranili, kar lahko privede do poškodb celic in tkiv). Zdi se, da so se ravni in delovanje Nrf2 zmanjšali pri bolnikih s Friedrichovo ataksijo.



Kakšne koristi zdravila Skyclarys so se pokazale v študijah?

V glavni študiji, ki je vključevala 103 bolnike s Friedrichovo ataksijo v starosti od 16 do 40 let, je bilo zdravilo Skyclarys učinkovitejše od placeba (zdravila brez učinkovine) pri zmanjševanju telesne okvare po 48 tednih zdravljenja.

Za oceno resnosti simptomov Friedreichove ataksije (ki so povezani z živci ali živčnim sistemom) je bila uporabljena modificirana Friedreichova lestvica za ocenjevanje ataksije (mFARS), ki je sestavljena iz niza ocen s fizičnim pregledom. Če se rezultat mFARS zmanjša, to pomeni, da se telesna okvara zmanjša.

Obokano stopalo je deformacija stopal, ki se pogosto šteje za zaplet pri Friedreichovi ataksiji. Ker ni standardizirane metode za razvrščanje resnosti obokanega stopala in ker bi bolezen lahko morebiti vplivala na rezultat mFARS, bolniki z obokanim stopalom niso bili vključeni v primarne analize.

Pri 82 bolnikih brez obokanega stopala so pri tistih, ki so prejeli zdravilo Skyclarys, zabeležili zmanjšanje za približno 1,6 točke po lestvici mFARS v primerjavi s povečanjem za približno 0,9 točke pri tistih, ki so prejeli placebo.

V študiji so prav tako ocenjevali vpliv zdravljenja na bolnikovo oceno aktivnosti vsakdanjega življenja pri Friedreichovi ataksiji (FA-ADL), tj. merilo, ki se uporablja za oceno, kako dobro lahko osebe s Friedreichovo ataksijo opravljajo vsakodnevne dejavnosti, kot so oblačenje, umivanje in prehranjevanje, pri čemer višje ocene kažejo na višje ravni invalidnosti. Pri 82 bolnikih brez obokanega stopala so pri tistih, ki so prejeli zdravilo Skyclarys, zabeležili zmanjšanje za približno 0,2 točke po lestvici FA-ADL v primerjavi s povečanjem za približno 1,1 točke pri tistih, ki so prejeli placebo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Skyclarys?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Skyclarys glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Skyclarys (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so povečane ravni jetrnih encimov (imenovanih alanin-transaminaza in aspartat-aminotransferaza), glavobol, zmanjšanje telesne mase, siljenje na bruhanje, bruhanje, driska, utrujenost, bolečine v ustih in žrelu, bolečine v hrbtu, mišični krči, gripa in zmanjšan tek.

Zakaj je bilo zdravilo Skyclarys odobreno v EU?

V času odobritve je obstajala pomembna neizpolnjena potreba po zdravilu za bolnike s Friedreichovo ataksijo, saj za zdravljenje te bolezni ni bilo drugih odobrenih zdravil. Izkazalo se je, da zdravilo Skyclarys koristi bolnikom s tem obolenjem. Čeprav so obstajale negotovosti, povezane z glavno študijo, kot so majhno število bolnikov, izključitev bolnikov s hudimi oblikami bolezni (tistih z napredovalo boleznijo srca in sladkorno boleznijo) in zapleti, kot je obokano stopalo (kot je opredeljeno v študiji), je agencija menila, da opažene koristi veljajo tudi za te bolnike. Varnostni profil zdravila Skyclarys je bil na splošno ocenjen kot sprejemljiv, saj so bili neželeni učinki v glavni študiji na splošno blagi do zmerni ter so večinoma izzveneli v dveh mesecih.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Skyclarys večje od z njim povezanih tveganj in se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Skyclarys?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Skyclarys upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Skyclarys stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Skyclarys, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Skyclarys

Nadaljnje informacije za zdravilo Skyclarys so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys.