



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaveloxolon*)

Sammanfattning av Skyclarys och varför det är godkänt inom EU

Vad är Skyclarys och vad används det för?

Skyclarys är ett läkemedel som ges till patienter från 16 års ålder för att behandla Friedreichs ataxi, en ärftlig sjukdom som orsakar skador på nervsystemet och leder till svårigheter med koordination, balans och rörelser, trötthet, talsvårigheter samt en ökad risk för kardiomyopati (hjärtmuskelskada) och diabetes.

Friedreichs ataxi är sällsynt och Skyclarys klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 27 juni 2018. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Skyclarys innehåller den aktiva substansen omaveloxolon.

Hur används Skyclarys?

Skyclarys är receptbelagt och förskrivs på en särskild receptblankett, vilket innebär att det används under striktare villkor än normalt. Behandling med läkemedlet ska endast inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med Friedreichs ataxi.

Läkemedlet finns som kapslar som ska tas genom munnen en gång om dagen. Dosen kan behöva sänkas om patienten tar läkemedel av typen CYP3A-hämmare, eftersom dessa kan störa nedbrytningen av Skyclarys i kroppen.

För att få mer information om hur Skyclarys används, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Skyclarys?

Det är inte helt klarlagt hur den aktiva substansen i Skyclarys, omaveloxolon, verkar. Den har dock visat sig aktivera signalvägen Nrf2, som hjälper cellerna att reagera på oxidativ stress (ett tillstånd som kan uppstå när det finns för många fria radikaler i kroppen och inte tillräckligt med antioxidanter för att göra sig av med dem, vilket kan leda till cell- och vävnadsskador). Nrf2-nivåerna och Nrf2-aktiviteten förefaller vara undertryckta hos patienter med Friedreichs ataxi.

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



Vilka fördelar med Skyclarys har visats i studierna?

I en huvudstudie på 103 patienter i åldern 16–40 år med Friedreichs ataxi var Skyclarys effektivare än placebo (overksam behandling) när det gällde att minska den fysiska funktionsnedsättningen efter 48 veckors behandling.

Den modifierade bedömningsskalan för Friedreichs ataxi (mFARS), som består av en serie fysiska undersökningsbedömningar, användes för att bedöma svårighetsgraden av de neurologiska (som har att göra med nerverna eller nervsystemet) symtomen på Friedreichs ataxi. Om mFARS-poängen minskar innebär det en minskning av den fysiska funktionsnedsättningen.

Pes cavus är en fotdeformitet som ofta förekommer som en komplikation av Friedreichs ataxi. Eftersom det inte finns någon standardiserad metod för att klassificera pes cavus svårighetsgrad och på grund av tillståndets möjliga inverkan på mFARS-poängen inkluderades inte patienter med pes cavus i primäranalyserna.

Hos 82 patienter utan pes cavus hade de som fick Skyclarys en minskning med cirka 1,6 i mFARS-poängen jämfört med en ökning på omkring 0,9 hos de som fick placebo.

I studien utvärderades även effekten av behandling på patienternas FA-ADL-poäng, ett mått som används för att bedöma hur väl personer med Friedreichs ataxi kan utföra dagliga aktiviteter, såsom att klä på sig, bada och äta, där högre poäng tyder på högre nivåer av funktionsnedsättning. Av de 82 patienter som inte hade pes cavus uppvisade de som fick Skyclarys en minskning med cirka 0,2 i sin FA-ADL-poäng jämfört med en ökning med cirka 1,1 hos de som fick placebo.

Vilka är riskerna med Skyclarys?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Skyclarys finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Skyclarys (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är förhöjda nivåer av leverenzymerna (alanintransaminas och aspartataminotransferas), huvudvärk, viktminskning, illamående, kräkningar, diarré, trötthet, smärta i mun och svalg, ryggsmärta, muskelspasmer, influensa och minskad aptit.

Varför är Skyclarys godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet fanns det ett betydande ouppfyllt medicinskt behov hos patienter med Friedreichs ataxi, med tanke på att det inte fanns några andra läkemedel som var godkända för behandling av sjukdomen. Skyclarys har visats vara till nytta för patienter med Friedreichs ataxi. Även om det fanns osäkerheter i samband med huvudstudien, såsom det låga antalet patienter, uteslutningen av patienter med allvarliga former av sjukdomen (de med avancerad hjärtsjukdom och diabetes) och komplikationer som pes cavus (enligt definitionen i studien), ansåg myndigheten att den konstaterade nyttan även gällde dessa patienter. På det hela taget ansågs Skyclarys säkerhetsprofil vara hanterbar med tanke på att biverkningarna i huvudstudien i allmänhet var lindriga till medelsvåra och oftast försvann inom två månader.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Skyclarys är större än riskerna och att Skyclarys kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Skyclarys?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Skyclarys har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Skyclarys kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Skyclarys utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Skyclarys

Mer information om Skyclarys finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys.