



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaveloksolonas*)

Skyclarys apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Skyclarys ir kam jis vartojamas?

Skyclarys – tai vaistas, skiriamas 16 metų ir vyresniems pacientams, kuriems diagnozuota Fridricho ataksija – paveldima liga, kuri pažeidžia nervų sistemą ir sukelia koordinacijos, pusiausvyros ir judėjimo sutrikimus, nuovargį, apsunkina kalbėjimą ir padidina kardiomiopatijos (širdies raumens pažeidimo) ir diabeto riziką.

Fridricho ataksija laikoma reta liga, todėl 2018 m. birželio 27 d. Skyclarys buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Skyclarys sudėtyje yra veikliosios medžiagos omaveloksolono.

Kaip vartoti Skyclarys?

Skyclarys galima įsigyti tik pateikus specialų receptą, o tai reiškia, kad jis vartojamas griežtesnėmis nei įprasta sąlygomis. Gydymą gali pradėti ir prižiūrėti tik Fridricho ataksija sergančių pacientų gydymo patirties turintis gydytojas.

Vaistas tiekiamas kasdien vartojamų geriamųjų kapsulių forma. Vaisto dozę gali reikėti sumažinti, jeigu pacientas vartoja kitus vaistus, vadinamus CYP3A inhibitoriais, kurie gali sutrikdyti Skyclarys skaidymą organizme.

Daugiau informacijos apie Skyclarys vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į savo gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Skyclarys?

Skyclarys veikliosios medžiagos omaveloksolono veikimo mechanizmas nėra visiškai aiškus. Tačiau įrodyta, kad jis aktyvina Nrf2 signalo perdavimo kelią, o tai paskatina ląstelių atsaką į oksidacinį stresą (būklė, kai organizme yra per daug laisvų radikalų ir nepakanka antioksidantų, kad juos būtų galima pašalinti, dėl to gali būti pažeistos ląstelės ir audiniai). Manoma, kad Nrf2 kiekis ir aktyvumas Fridricho ataksija sergančių pacientų organizme yra sumažėjęs.



Kokia Skyclarys nauda nustatyta tyrimų metu?

Atliekant pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 103 16–40 metų Fridricho ataksija sergantys pacientai, nustatyta, kad po 48 gydymo savaitių Skyclarys veiksmingiau už placebą (preparatą be veikliosios medžiagos) malšino fizinius negalavimus.

Siekiant įvertinti Fridricho ataksijos sukiamų neurologinių (susijusių su nervais arba nervų sistema) simptomų sunkumą, buvo naudojama modifikuota Fridricho ataksijos vertinimo skalė (mFARS), kurią sudaro keli būklės vertinimai atliekant fizinę apžiūrą. Jeigu mFAS balas sumažėja, vadinasi, fiziniai negalavimai slopsta.

Išgaubtos pėdos (*pes cavus*) būklė dažnai laikoma Fridricho ataksijos komplikacija. Kadangi nėra standartizuotų metodų, pagal kuriuos būtų galima klasifikuoti išgaubtos pėdos sutrikimo sunkumą ir dėl galimo jo poveikio mFARS balui, pacientai, kuriems nustatytas išgaubtos pėdos sutrikimas, į pirminės analizės nebuvo įtraukti.

Tarp 82 pacientų, kuriems išgaubtos pėdos sutrikimas nenustatytas, vartojusiųjų Skyclarys mFARS balas sumažėjo maždaug 1,6, o vartojusiųjų placebą – maždaug 0,9.

Tyrime taip pat įvertintas gydymo poveikis pacientų FA-ADL balui, kuris leidžia įvertinti, kaip Fridricho ataksija sergantys žmonės gali atlikti kasdienes darbus, pavyzdžiui, apsirengti, maudytis ir valgyti (aukštesni balai rodo didesnę negalios lygį). Tarp 82 pacientų, kuriems išgaubtos pėdos sutrikimas nenustatytas, vartojusiųjų Skyclarys FA-ADL balas sumažėjo maždaug 0,2, o vartojusiųjų placebą – padidėjo maždaug 1,1.

Kokia rizika susijusi su Skyclarys vartojimu?

Išsamų visų Skyclarys šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Skyclarys šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra padidėjęs kepenų fermentų (vadinamų alanino transaminaze ir aspartato aminotransferaze) kiekis, galvos skausmas, svorio sumažėjimas, pykinimas, vėmimas, viduriavimas, nuovargis, burnos ir gerklės skausmas, nugaros skausmas, raumenų spazmai, gripas ir sumažėjęs apetitas.

Kodėl Skyclarys buvo registruotas ES?

Tuo metu, kai vaistas buvo patvirtintas, Fridricho ataksija sergančių pacientų gydymo poreikiai buvo nepatenkinti, nes kitų šiai ligai gydyti įregistruotų vaistų nebuvo. Nustatyta, kad Skyclarys yra naudingas Fridricho ataksija sergantiems pacientams. Nors buvo neaiškumų, susijusių su pagrindiniu tyrimu, pavyzdžiui, dėl nedidelio pacientų skaičiaus, neįtrauktų pacientų, kurie serga sunkiomis ligos formomis (pažengusios stadijos širdies liga ir diabetu) ir patyrė komplikacijas, pvz., išgaubtos pėdos sutrikimą (kaip nurodyta tyrime), Agentūra laikėsi nuomonės, kad gydymas šiems pacientams buvo veiksmingas. Apskritai laikytasi nuomonės, kad Skyclarys saugumo charakteristikas galima kontroliuoti, nes pagrindinio tyrimo metu nustatytas šalutinis poveikis paprastai buvo lengvas arba vidutinio sunkumo ir dažniausiai išnykdavo per du mėnesius.

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Skyclarys nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Skyclarys vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Skyclarys vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Skyclarys vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Skyclarys šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Skyclarys

Daugiau informacijos apie Skyclarys rasite Agentūros interneto svetainėje adresu:

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