



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Skyclarys (*omaveloxolona*)

Información general sobre Skyclarys y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Skyclarys y para qué se utiliza?

Skyclarys es un medicamento que se utiliza en pacientes a partir de 16 años para el tratamiento de la ataxia de Friedreich, una enfermedad hereditaria que causa daños en el sistema nervioso y que provoca dificultades de coordinación, equilibrio y movimiento, fatiga, dificultad para hablar, así como un mayor riesgo de miocardiopatía (daño en el músculo cardíaco) y diabetes.

La ataxia de Friedreich es «rara», y Skyclarys fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 27 de junio de 2018. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Skyclarys contiene el principio activo omaveloxolona.

¿Cómo se usa Skyclarys?

Skyclarys solo se podrá dispensar con receta médica «especial», es decir, dado que este medicamento puede utilizarse incorrectamente o provocar adicción, se utiliza bajo condiciones más estrictas que las habituales. El medicamento solo debe ser iniciado y supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con ataxia de Friedrich.

El medicamento se presenta en cápsulas que se toman por vía oral una vez al día. Puede ser necesario reducir la dosis si el paciente está tomando otros medicamentos denominados «inhibidores del CYP3A» que podrían interferir en la forma en la que Skyclarys se descompone en el organismo.

Si desea más información sobre el uso de Skyclarys, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Skyclarys?

No se entiende plenamente cómo funciona el principio activo de Skyclarys, la omaveloxolona. Sin embargo, se ha demostrado que activa la vía de Nrf2, que ayuda a las células a responder al estrés oxidativo (un trastorno que puede producirse cuando hay demasiados radicales libres en el organismo y no hay suficientes antioxidantes para librarse de ellos, lo que puede provocar daños en las células y

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



los tejidos). Los niveles y la actividad de Nrf2 parecen disminuir en los pacientes con ataxia de Friedreich.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Skyclarys en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron 103 pacientes con ataxia de Friedreich de entre 16 y 40 años de edad, Skyclarys fue más eficaz que el placebo (un tratamiento ficticio) en la reducción del deterioro físico al cabo de 48 semanas de tratamiento.

el cambio en la puntuación de la escala de evaluación de la ataxia de Friedreich modificada (mFARS), que consiste en una serie de evaluaciones de examen físico, se utilizó para evaluar la gravedad de los síntomas neurológicos (relacionados con los nervios o el sistema nervioso) de la ataxia de Friedreich. Si la puntuación de la mFARS disminuye, significa que se produce una reducción del deterioro físico.

El pie cavo es una deformidad de los pies que a menudo se considera una complicación de la ataxia de Friedreich. Dado que no existe un método normalizado para clasificar la gravedad del pie cavo y debido al posible impacto de la enfermedad en la puntuación en la escala mFARS, los pacientes con pie cavo no se incluyeron en los análisis primarios.

En 82 pacientes sin pie cavo, los que recibieron Skyclarys registraron una reducción de alrededor de 1,6 en su puntuación mFARS, en comparación con un aumento de alrededor de 0,9 en los que recibieron placebo.

El estudio también evaluó el impacto del tratamiento en los pacientes con la puntuación FA-ADL, una puntuación utilizada para evaluar en qué medida las personas con ataxia de Friedrich pueden llevar a cabo actividades de la vida diaria, como vestirse, bañarse y comer, con puntuaciones más altas que indican mayores niveles de discapacidad. De los 82 pacientes sin pie cavo, los que recibieron Skyclarys presentaron una reducción de aproximadamente 0,2 en su puntuación FA-ADL, en comparación con un aumento de alrededor de 1,1 en aquellos a los que se administró placebo.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Skyclarys?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Skyclarys se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Skyclarys (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son aumento de los niveles de enzimas hepáticas (conocido como alanina transaminasa y aspartato aminotransferasa), dolor de cabeza, disminución de peso, sensación de malestar, vómitos, diarrea, sensación de cansancio, dolor de boca y garganta, dolor de espalda, espasmos musculares, gripe y disminución del apetito.

¿Por qué se ha autorizado Skyclarys en la UE?

En el momento de la aprobación, existía una importante necesidad médica no satisfecha para los pacientes con ataxia de Friedreich, dado que no había otros medicamentos autorizados para el tratamiento de la enfermedad. Se ha demostrado que Skyclarys es beneficioso para los pacientes con ataxia de Friedreich. Aunque hubo incertidumbres relacionadas con el estudio principal, como el pequeño número de pacientes, la exclusión de pacientes con formas graves de la enfermedad (pacientes con cardiopatía avanzada y diabetes) y complicaciones como pie cavo (tal como se define en el estudio), la Agencia consideró que los beneficios observados se aplicaban también a estos pacientes. En general, el perfil de seguridad de Skyclarys se consideró controlable, dado que los efectos adversos del estudio principal fueron por lo general de intensidad leve o moderada y se resolvieron en su mayoría en un plazo de dos meses.

Por tanto, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Skyclarys eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Skyclarys?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Skyclarys se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Skyclarys se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Skyclarys se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Skyclarys

Puede encontrar información adicional sobre Skyclarys en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/skyclarys.