

# Prva terapija za zdravljenje Friedreichove ataksije

Zdravilo Skyclarys je postalo prvo odobreno zdravilo za zdravljenje Friedreichove ataksije (FA) v Evropi, redkega, genetskega in progresivnega neurodegenerativnega obolenja. Marca lani je bilo zdravilo odobreno v Združenih državah Amerike, 9. februarja 2024 pa je Evropska agencija za zdravila (EMA) izdala dovoljenje za promet z zdravilom v Evropi.



Slika je simbolična (vir Canva)

Skyclarys je peroralno zdravilo, od katerega se pričakuje, da bo upočasnilo ali preprečilo napredovanje FA pri ljudeh, ki so stari 16 let ali več. Pri FA gre za okvaro živčnega sistema, kar ima za posledico težave s koordinacijo, ravnotežjem in gibanjem, z utrujenostjo, težavo z govorom ter povečano tveganje za kardiomiopatijo (poškodba srčne mišice) in sladkorno bolezen. FA povzročajo genetske mutacije, ki vodijo do nizkih ravni frataksina, beljakovine, ki je potrebna za delovanje mitohondrijev, ki služijo kot centri za proizvodnjo energije v celicah. Okvare v proizvodnji celične energije povzročajo kronično vnetje in ranljivost za oksidativni stres, vrsto celične poškodbe.

Zdravilo Skyclarys vsebuje zdravilno učinkovino omaveloksolon in je zasnovano tako, da aktivira Nrf2, vrsto beljakovine, da aktivira gene, ki spodbujajo

delovanje mitohondrijev, povečujejo antioksidativne odzive in preprečujejo vnetja. Pri tem naj bi terapija upočasnila ali preprečila napredovanje bolezni. V glavni študiji, ki je vključevala 103 obolele s FA, stare med 16 in 40 let, je bilo zdravilo Skyclarys po 48 tednih zdravljenja učinkovitejše od placeba.

Zdravilo je prvotno razvilo podjetje Reata Pharmaceuticals v sodelovanju z AbbVie. Imetnik dovoljenja za slovenski trg je podjetje Biogen. Ko EMA odobri zdravilo, sledi njegova uvrstitev v zdravstveni sistem posamezne države EU. Postopki so različno dolgi in se razlikujejo od države do države. Iz podjetja Biogen so sporočili, da so postopki že v teku, končna odločitev se pričakuje v zadnjem četrtletju leta 2024.

Pri društvu bomo v jeseni organizirali strokovno predavanje, na katerem bodo zdravniki podali bolj podrobne

informacije o tem, kako zdravilo deluje, kako se uporablja, kakšne so koristi in morebitna tveganja uporabe zdravila Skyclarys. Predstavili bodo tudi potek obravnave obolelih s FA v okviru Kliničnega inštituta za klinično neurofiziologijo Nevrološke klinike UKC Ljubljana. O izvedbi predavanja boste pravočasno obveščeni.

■ Andreja Šuštar

## Uporabljeni viri:

<https://friedreichsataxianews.com/friedreichs-ataxia-experimental-treatments/rta-408-omaveloxolone/>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/skyclarys#ema-inpage-item-assessment-history>

