**Europos Komisija patvirtino „Biogen“ vaistą SKYCLARYS® (omaveloksoloną) - pirmąją terapiją Fridricho *(Friedreich)* ataksijai gydyti**

* Fridricho *(Friedreich)* ataksija yra reta, genetinė, gyvenimą trumpinanti ir luošinanti, neurodegeneracinė liga
* Gydymas SKYCLARYS® pagerino pacientų funkcijas, palyginti su placebu
* „Biogen“ pasitelkia savo patirtį ir gebėjimus retųjų ligų srityje, kad šis novatoriškas gydymas būtų prieinamas pacientams

**Kembridžas, Masačusetsas** - **2024 m. vasario 12 d.** – „Biogen Inc.“ (Nasdaq: BIIB) paskelbė, kad Europos Komisija (EK) patvirtino SKYCLARYS® (omaveloksoloną) Fridricho (*Friedreich*) ataksija gydyti suaugusiesiems ir paaugliams nuo 16 metų. SKYCLARYS® yra pirmasis vaistas Europos Sąjungoje patvirtintas šios retos, genetinės, progresuojančios, neurodegeneracinės ligos gydymui. 1

„Per savo klinikinę praktiką mačiau, kokį pražūtingą poveikį pacientams ir jų šeimoms sukelia Fridricho (*Friedreich*) ataksija,“ - sakė medicinos mokslų daktarė Sylvia Boesch, MOXIe tyrimo pagrindinė tyrėja ir Insbruko Medicinos universiteto (Austrija) Neurologijos katedros Retų judėjimo sutrikimų centro vedėja. „Klinikinio tyrimo metu Fridricho *(Friedreich)* ataksija sergantys pacientai, gydomi SKYCLARYS®, patyrė svarbių ir kliniškai reikšmingų pagerėjimų savo kasdieniame gyvenime. Gavus šį patvirtinimą, bendruomenė optimistiškai žvelgia į tai, kad SKYCLARYS® gali tapti naujos eros Fridricho *(Friedreich)* ataksijos gydyme pradžia.“

Fridricho *(Friedreich)* ataksija yra dažniausia paveldima ataksija.2,3 Ankstyvieji simptomai paprastai pastebimi vaikystėje ir pasireiškia laipsnišku koordinacijos praradimu, raumenų silpnumu ir nuovargiu.4 Ligai progresuojant žmonėms, sergantiems Fridricho *(Friedreich)* ataksija, taip pat gali sutrikti regėjimas ir klausa, gali atsirasti kalbos ir rijimo problemų, cukrinis diabetas, skoliozė ir širdies ligos.5  Daugelis žmonių, sergančių Fridricho *(Friedreich)* ataksija, naudojasi pagalbinėmis vaikščiojimo priemonėmis, o per 10-20 metų nuo diagnozės nustatymo jiems dažnai prireikia neįgaliojo vežimėlio. 2 Deja, Fridricho *(Friedreich)* ataksijos komplikacijos lemia tai, kad vidutinė tikėtina gyvenimo trukmė yra 37 metai. 5-7

"Biogen" didžiuojasi galėdama pridėti SKYCLARYS® prie savo vaistų portfelio ir patenkinti svarbų neišspręstą poreikį, suteikdama pirmą gydymo galimybę žmonėms, sergantiems Fridricho *(Friedreich)* ataksija Europoje", - sakė Priya Singhal, medicinos mokslų daktarė, „Biogen“ Plėtros skyriaus vadovė. „Mūsų komanda yra pasiryžusi bendradarbiauti su medikų bendruomene ir vietos valdžios institucijomis, kad skubiai užtikrintume pacientams galimybę gauti šį vaistą. Nuoširdžiai dėkojame Fridricho *(Friedreich)* ataksijos bendruomenei už jos indėlį, kuris paskatino SKYCLARYS® kūrimą ir dėl kurio šiandieninis patvirtinimas tapo įmanomas.“

EK vaisto SKYCLARYS® patvirtinimas pagrįstas placebo-kontroliuojamo MOXIe 2 dalies tyrimo duomenimis apie veiksmingumą ir saugumą. Pasibaigus 48 savaičių trukmės tyrimui, SKYCLARYS® gavusių pacientų modifikuotos Fridricho *(Friedreich)* ataksijos vertinimo skalės (angliškai modified Friedreich Ataxia Rating Scale (mFARS) ) rodikliai buvo žymiai geresni nei placebo grupėje. Visi mFARS vertinimo komponentai, įskaitant gebėjimą ryti (bulbarinis), viršutinių galūnių koordinaciją, apatinių galūnių koordinaciją ir stabilumą vertikalioje padėtyje, buvo palankesni pacientų, gydytų SKYCLARYS®, grupėje, palyginti su placebo grupe. Papildomi duomenys buvo gauti atlikus aposteriorinę, panašių atvejų analizę, pagal kurią pacientų, gydytų SKYCLARYS MOXIe (Extension, t.y. tęstiniame) tyrime, mFARS balai po 3 metų buvo mažesni, palyginti su negydoma natūralios ligos eigos grupe. Dažniausi šalutiniai poveikiai - padidėjęs kepenų fermentų aktyvumas, sumažėjęs svoris ir apetitas, pykinimas, vėmimas, viduriavimas, galvos skausmas, nuovargis, burnos ir ryklės skausmas, nugaros skausmas, raumenų mėšlungis ir gripas.

„SKYCLARYS® patvirtinimas yra svarbus etapas plečiant pasaulinį prieinamumą ir suteikiant pirmąjį patvirtintą gydymą Fridricho *(Friedreich)* ataksijos bendruomenei ES“, - sakė Jennifer Farmer, Fridricho *(Friedreich)* ataksijos tyrimų aljanso (angliškai Friedreich’s Ataxia Research Alliance (FARA) Vyriausioji vykdomoji direktorė. „FARA dėkoja visiems tyrėjams, klinikinėms įstaigoms, Friedricho ataksija sergantiems asmenims ir jų šeimoms, pacientų organizacijoms, kompanijai „Biogen“ ir Europos vaistų agentūrai už mokslinius tyrimus, įdėtas vaisto kūrimo ir populiarinimo bei paramos pastangas, padėjusias gauti šį patvirtinimą. Tikimės ir toliau bendradarbiauti su Fridricho *(Friedreich)* ataksija sergančiųjų bendruomene, siekdami išplėsti prieigą ten, kur jos reikia.“

„Organizacijos „Euro-ataxia“ ir jos narių vardu džiaugiuosi tuo, kad Europos Komisija patvirtino SKYCLARYS® - labai reikalingą vaistą suaugusiesiems, sergantiems Fridricho *(Friedreich)* ataksija ES šalyse“, - sakė „Euro-ataxia“ prezidentas Andreas Nadke. „Mūsų narių pacientų grupės daugelį metų dirbo ir laukė šios dienos, ir mes tvirtai tikime, kad tai bus sėkminga ir džiuginanti pradžia gydant Fridricho *(Friedreich)* ataksiją.“

Išsamią informaciją apie vaistą rasite preparato charakteristikų santraukoje Europos vaistų agentūros interneto svetainėje www.ema.europa.eu. „Biogen“ yra įsipareigojusi glaudžiai bendradarbiauti su visomis suinteresuotosiomis šalimis tam, kad Europos pacientai, atitinkantys reikalavimus, galėtų gauti šį gydymą. Ankstyvosios prieigos prie SKYCLARYS® programos šiuo metu vykdomos Vokietijoje ir Prancūzijoje, ir planuojama, esant galimybei, jas išplėsti į kitas šalis. SKYCLARYS® taip pat yra patvirtintas naudoti Jungtinėse Amerikos Valstijose, o „Biogen“ bendradarbiauja su kitų regionų reguliavimo institucijomis.

**Apie SKYCLARYS® (omaveloksoloną)**

SKYCLARYS® (omaveloksolonas) yra geriamasis, vieną kartą per parą vartojamas vaistas, skirtas Fridricho *(Friedreich)* ataksijai gydyti suaugusiesiems ir 16 metų ir vyresniems paaugliams JAV ir Europos Sąjungoje. JAV Maisto ir vaistų administracija priskyrė SKYCLARYS® vaisto retoms ligoms gydyti, pagreitintos peržiūros vaisto ir vaisto retoms vaikų ligoms gydyti kategorijoms. Europos Komisija priskyrė SKYCLARYS® vaisto retųjų ligų gydymui Europoje, skirto Fridricho *(Friedreich)* ataksijai gydyti, kategorijai.

**Apie Fridricho *(Friedreich)* ataksiją**

Fridricho *(Friedreich)* ataksija yra retas, genetinis, gyvenimą trumpinantis, luošinantis ir degeneracinis nervų-raumenų sutrikimas. Tai dažniausia paveldima ataksija.2,3 Ankstyvieji Fridricho *(Friedreich)* ataksijos simptomai, tokie kaip laipsniškas koordinacijos praradimas, raumenų silpnumas ir nuovargis, paprastai pasireiškia vaikystėje ir gali sutapti su kitomis ligomis. 4 Daugumai Fridricho *(Friedreich)* ataksija sergančių žmonių per 10-20 metų nuo pirmųjų simptomų pasireiškimo prireikia naudotis neįgaliojo vežimėliu.2 Pranešama, kad Fridricho *(Friedreich)* ataksija sergantys pacientai vidutiniškai gyvena tik 37 metus, nors, esant tinkamai ir tikslingai priežiūrai, asmenys gali gyventi daug metų po to, kai bus prikaustyti prie neįgaliojo vežimėlio. 5-7

**Apie „Biogen“**

1978 m. įkurta „Biogen“ yra pirmaujanti biotechnologijų bendrovė, novatoriško mokslo pradininkė, kurianti naujus vaistus, keičiančius pacientų gyvenimus ir kuriančius vertę akcininkams bei mūsų bendruomenėms. Taikome gilų žmogaus biologijos supratimą ir naudojame įvairius metodus, kad sukurtume aukščiausios klasės gydymą arba terapiją, kuri duoda geriausius rezultatus. Mūsų požiūris - drąsi rizika, suderinta su investicijų grąža, siekiant ilgalaikio augimo.

Informaciją, kuri gali būti svarbi investuotojams, nuolat skelbiame savo interneto svetainėje www.biogen.com. Sekite mus socialiniuose tinkluose - Facebook, LinkedIn, X, YouTube.

**„Biogen“ „saugus uostas“**

Šis pranešimas spaudai apima į ateitį orientuotus teiginius apie galimą SKYCLARYS® naudą, saugumą ir veiksmingumą; galimas reguliavimo institucijų diskusijas, paraiškų pateikimą ir patvirtinimus bei jų laiką; Fridricho (Friedreich) ataksijos gydymą; „Biogen“ komercinio verslo ir planuojamų programų, įskaitant Fridricho (Friedreich) ataksiją, potencialą; riziką ir neapibrėžtumą, susijusį su vaistų kūrimu ir komercializavimu. Šie teiginiai gali būti pažymėti tokiais žodžiais kaip „tikslas“, „numatyti“, „tikėti“, „galėtų“, „įvertinti“, „tikėtis“, „prognozuoti“, „ketinti“, „gali“, „planuoti“, „galimas“, „potencialus“, „bus“, „būtų“ ir kitais panašios reikšmės žodžiais ir terminais. Vaistų kūrimas ir komercializavimas susijęs su didele rizika, ir tik nedidelė dalis mokslinių tyrimų ir kūrimo, plėtros programų baigiasi produkto komercializavimu. Ankstyvojo etapo klinikinių tyrimų rezultatai gali neparodyti visų rezultatų, ar vėlesnio etapo ar didesnio masto klinikinių tyrimų rezultatų ir neužtikrina reguliacinių institucijų patvirtinimo. Neturėtumėte pernelyg pasikliauti šiais teiginiais.

Šie teiginiai susiję su rizika ir neapibrėžtumu, dėl kurių faktiniai rezultatai gali iš esmės skirtis nuo tuose teiginiuose pateiktų rezultatų, įskaitant, bet neapsiribojant, netikėtas problemas, kurios gali kilti dėl papildomų duomenų, analizės ar klinikinių tyrimų metu gautų rezultatų; nepageidaujamų saugumo reiškinių atsiradimą; netikėtų išlaidų ar vėlavimo riziką; kitų nenumatytų kliūčių riziką; paraiškų teikimas reguliavimo institucijoms gali užtrukti ilgiau arba būti sudėtingesnis įgyvendinti nei tikėtasi; reguliavimo institucijos gali pareikalauti papildomos informacijos ar papildomų tyrimų arba gali nepatvirtinti, atsisakyti patvirtinti ar atidėti „Biogen“ vaistinių preparatų, įskaitant omaveloksoloną, patvirtinimą; faktinis pateikimo reguliavimo institucijoms ir jų priimamų sprendimų dėl omaveloksolono laikas ir turinys; omaveloksolono kūrimo ir galimo komercializavimo sėkmės neapibrėžtumas; nesugebėjimas apsaugoti ir įgyvendinti „Biogen“ duomenų, intelektinės nuosavybės ir kitos nuosavybės teisės bei neapibrėžtumas, susijęs su intelektinės nuosavybės pretenzijomis ir iššūkiais; pretenzijos dėl atsakomybės už produktus; trečiųjų šalių bendradarbiavimo rizika; tiesioginis ir netiesioginis tebesitęsiančios COVID-19 pandemijos poveikis „Biogen“ verslui, veiklos rezultatams ir finansinei būklei. Pirmiau išvardyta daug, tačiau ne visi iš veiksnių, dėl kurių faktiniai rezultatai gali skirtis nuo „Biogen“ lūkesčių, pateiktų bet kuriame į ateitį orientuotame teiginyje. Investuotojai turėtų atsižvelgti į šį įspėjamąjį pareiškimą, taip pat ir į rizikos veiksnius, nurodytus naujausioje „Biogen“ metinėje ar ketvirtinėje ataskaitoje ir kitose ataskaitose, kurias „Biogen“ pateikė JAV vertybinių popierių ir biržos komisijai. Šie teiginiai galioja tik šio pranešimo spaudai dieną. Bendrovė „Biogen“ neįsipareigoja viešai atnaujinti jokių į ateitį orientuotų teiginių.

*Literatūros šaltiniai:*

1. Friedreich’s Ataxia Research Alliance. “What is FA?” Available at: [https://www.curefa.org/what-is-friedreichs-ataxia#](https://www.curefa.org/what-is-friedreichs-ataxia). Accessed February 2024.
2. National Institute of Neurological Disorders and Stroke. Friedreich Ataxia. Available at: <https://www.ninds.nih.gov/health-information/disorders/friedreich-ataxia>. Accessed February 2024.
3. Schulz JB, Boesch S, Bürk K, Dürr A, Giunti P, Mariotti C, Pousset F, Schöls L, Vankan P, Pandolfo M. Diagnosis and treatment of Friedreich ataxia: a European perspective. Nat Rev Neurol. 2009 Apr;5(4):222-34. doi: 10.1038/nrneurol.2009.26. PMID: 19347027.
4. Fogel BL, Perlman S. Clinical features and molecular genetics of autosomal recessive cerebellar ataxias. Lancet Neurol. 2007 Mar;6(3):245-57. doi: 10.1016/S1474-4422(07)70054-6. PMID: 17303531.
5. Parkinson MH, Boesch S, Nachbauer W, Mariotti C, Giunti P. Clinical features of Friedreich’s ataxia: classical and atypical phenotypes. J Neurochem. 2013 Aug;126 Suppl 1:103-17. doi: 10.1111/jnc.12317. PMID: 23859346.
6. Tsou AY, Paulsen EK, Lagedrost SJ, Perlman SL, Mathews KD, Wilmot GR, Ravina B, Koeppen AH, Lynch DR. Mortality in Friedreich ataxia. J Neurol Sci. 2011 Aug 15;307(1-2):46-9. doi: 10.1016/j.jns.2011.05.023. Epub 2011 Jun 8. PMID: 21652007.
7. Corben LA, Collins V, Milne S, Farmer J, Musheno A, Lynch D, Subramony S, Pandolfo M, Schulz JB, Lin K, Delatycki MB; Clinical Management Guidelines Writing Group. Clinical management guidelines for Friedreich ataxia: best practice in rare diseases. Orphanet J Rare Dis. 2022 Nov 12;17(1):415. doi: 10.1186/s13023-022-02568-3. PMID: 36371255; PMCID: PMC9652828.

###

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|

|  |  |
| --- | --- |
| MEDIA CONTACT:BiogenJack Cox+1 781-464-3260public.affairs@biogen.com | INVESTOR CONTACT:BiogenChuck Triano+1 781-464-2442IR@biogen.com    |

 |

Reklamos davėjas UAB Biogen Lithuania Gedimino pr. 20, 01103 Vilnius.

Reklamos parengimo data: 2024 02. Biogen-235624

**▼ Vykdoma papildoma vaistinio preparato stebėsena. Skyclarys 50 mg kietosios kapsulės.** Kiekvienoje kietojoje kapsulėje yra 50 mg omaveloksolono (*omaveloxolonum*). **Terapinės indikacijos.** Skyclarys skirtas suaugusiųjų ir 16 metų bei vyresnių paauglių, sergančių Fridricho (Friedreich) ataksija, gydymui. **Vartojimo būdas ir dozavimas.** Gydymą omaveloksolu turi pradėti ir stebėti gydytojai, turintys patirties gydant pacientus, sergančius Fridricho (*Friedreich*) ataksija. Dozavimas. Rekomenduojama dozė yra 150 mg omaveloksolono (3 kietosios kapsulės po 50 mg), vartojama vieną kartą per parą. Vaistinį preparatą išvėmus, papildomos dozės vartoti negalima. Praleidus dozę, kitą dozę reikia išgerti įprastu laiku kitą dieną. Negalima vartoti dvigubos dozės norint kompensuoti praleistą dozę. Vartojimo metodas. Vartoti per burną. Gerti nevalgius bent 1 valandą prieš valgį arba praėjus bent 2 valandoms po valgio. Kapsulę reikia nuryti visą. Jeigu pacientas nesugeba nuryti visos kapsulės, kapsules galima atidaryti ir visą turinį suberti į 2 valgomuosius šaukštus obuolių tyrelės. Pacientai visą vaistinio preparato ir maisto mišinį turi suvartoti iškart tuščiu skrandžiu bent 1 valandą prieš valgį arba praėjus bent 2 valandoms po valgio. Negalima mišinio laikyti vėlesniam vartojimui. **Kontraindikacijos.** Padidėjęs jautrumas veikliajai medžiagai, bet kuriai pagalbinei medžiagai. **Specialūs įspėjimai ir atsargumo priemonės.** ALT, AST ir bilirubino rodiklius reikia tikrinti prieš pradedant gydyti omaveloksolonu, paskui kas mėnesį pirmųjų 3 gydymo mėnesių laikotarpiu, o vėliau – periodiškai, atsižvelgiant į klinikines indikacijas. Jeigu ALT arba AST aktyvumas padidėja iki > 5 × VNR, gydymą tuoj pat nutraukti ir kuo greičiau pakartoti kepenų funkcijos tyrimus. Jeigu ALT arba AST aktyvumas padidėja iki > 3 × VNR, o bilirubino koncentracija padidėja iki > 2 × VNR, gydymą reikia tuoj pat nutraukti ir pakartoti kepenų funkcijos tyrimus. Tyrimus tęsti pagal poreikį. Skyclarys vartojant kartu su stipriais arba vidutinio stiprumo CYP3A4 inhibitoriais, gali reikšmingai padidėti omaveloksolono sisteminė ekspozicija. Omaveloksolono vartojant kartu su stipriais arba vidutinio stiprumo CYP3A4 induktoriais, gali reikšmingai sumažėti omaveloksolono ekspozicija. Prieš pradedant gydyti omaveloksolonu reikia įvertinti lipidų apykaitos žymenis, o gydymo metu juos reikia periodiškai tikrinti. Gydymas omaveloksolonu susijęs su B tipo natriuretinio peptido (BNP) koncentracijos padidėjimu. Pacientams reikia paaiškinti su skysčių pertekliumi susijusio stazinio širdies nepakankamumo požymius ir simptomus. Jeigu atsiranda skysčių pertekliaus požymių ir simptomų, reikia stebėti BNP (arba NT‑proBNP) rodiklius ir imtis pagal standartines klinikines rekomendacijas numatytų priemonių, o gydymą Skyclarys reikia laikinai pertraukti. Jeigu skysčių pertekliaus tinkamai kontroliuoti nepavyksta, gydymą Skyclarys reikia nutraukti. Rekomenduojama dažniau tirti pacientus, kurie neseniai buvo hospitalizuoti dėl skysčių pertekliaus, sąlygoto kardiomiopatijos, diabetinės IV stadijos lėtinės inkstų ligos ar kitų priežasčių. Gydymas Skyclarys susijęs su nedideliu svorio sumažėjimu. Pacientams reikia patarti reguliariai pasisverti. Pasireiškus neaiškios kilmės arba kliniškai reikšmingam kūno svorio mažėjimui, pacientą reikia nuodugniau ištirti. Šio vaistinio preparato dozėje yra mažiau kaip 1 mmol (23 mg) natrio, t. y. jis beveik neturi reikšmės. **Sąveika su kitais vaistiniais preparatais ir kitokia sąveika.** Tuo pat metu vartojami stiprūs ar vidutinio stiprumo CYP3A4 inhibitoriai arba CYP3A4 induktoriai turi įtakos omaveloksolono farmakokinetikai. Jeigu vartojimas kartu su stipriais arba vidutinio stiprumo CYP3A4 inhibitoriais neišvengiamas, svarstytinas Skyclarys dozės mažinimas stebint būklę. Greipfrutai ir greipfrutų sultys slopina CYP3A4, pacientus reikia įspėti vartojant Skyclarys jų vengti. Dėl galimo veiksmingumo susilpnėjimo pacientus reikia įspėti, kad vartodami Skyclarys vengtų tuo pat metu vartoti stiprių arba vidutinio stiprumo CYP3A4 induktorių, taip pat, jei įmanoma, apsvarstyti alternatyvų galimybes. Omaveloksolonas yra silpnas CYP3A4 induktorius ir gali sumažinti CYP3A4 substratų ekspoziciją. Tuo pat metu vartojant Skyclarys, gali sumažėti hormoninių kontraceptikų veiksmingumas. Omaveloksolonas yra silpnas CYP2C8 ir BCRP induktorius ir gali sumažinti CYP2C8 ir BCRP  substratų ekspoziciją. **Nepageidaujamas poveikis.** *Labai dažnas:* gripas, apetito sumažėjimas, galvos skausmas, burnos ir ryklės skausmas, pykinimas, viduriavimas, vėmimas, padidėjęs ALT aktyvumas, padidėjęs AST aktyvumas, nugaros skausmas, raumenų mėšlungis, nuovargis, svorio sumažėjimas. *Dažnas:* šlapimo takų infekcija, hipertrigliceridemija, padidėjęs labai mažo tankio lipoproteinų kiekis, skausmas viršutinėje pilvo dalyje, pilvo skausmas, padidėjęs GGT aktyvumas, dismenorėja, BNP koncentracijos padidėjimas. **Registruotojas**. Reata Ireland Limited, Airija. Atstovas Lietuvoje – Biogen Lithuania UAB, +370 5 259 6176. **Pakuotė.** Pakuotė, kurioje yra buteliukas su 90 kietųjų kapsulių, ir pakuotė, kurioje yra 3 buteliukai po 90 kietųjų kapsulių. Gali būti tiekiamos ne visų dydžių pakuotės. **Riboto išrašymo receptinis vaistinis preparatas.** Specialistai, pastebėję šalutinį poveikį ir (ar) gavę informacijos apie tai, turi pranešti Valstybinei vaistų kontrolės tarnybai prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos el. paštu NepageidaujamaR@vvkt.lt ar kitu būdu, kaip nurodyta jos interneto svetainėje [www.vvkt.lrv.lt](http://www.vvkt.lrv.lt). **Čia pateikta sutrumpinta informacija, prieš skirdami šį vaistinį preparatą perskaitykite išsamią informaciją.** Išsami informacija apie šį vaistinį preparatą pateikiama Europos vaistų agentūros tinklalapyje <http://www.ema.europa.eu>. Biogen-235621