"الغذاء والدواء" تعلن عن تسجيل مستحضر "سكاي كلارس" لعلاج مرض وراثي نادر يصيب الجهاز العصبي

المصدر: واس
تاريخ النشر: 23 يوليو 2025

سجّلت الهيئة العامة للغذاء والدواء مستحضر"سكاي كلارس" (أومافيلوكسولون)، الذي عُيِّن مسبقًا بصفته مستحضرًا يتيمًا ضمن برنامج الأدوية اليتيمة، لعلاج البالغين والمراهقين من عمر 16 عامًا فأكثر ممن يعانون من مرض "رنح فريدريخ" (Friedreich's ataxia)، وهو مرض وراثي نادر يسبب اضطرابًا عصبيًا يؤثر في الحركة، وجودة حياة المريض.

ويعمل المستحضر على تحفيز بروتين "Nrf2" أو العامل النووي المرتبط بالكريات الحمر 2، الذي يُعد من البروتينات المضادة للإجهاد التأكسدي، وقد وُجد أن مستويات هذا البروتين منخفضة لدى مرضى "رنح فريدريخ". إذ يؤدي هذا البروتين دورًا رئيسيًا في التعامل مع الإجهاد التأكسدي، وله دور وقائي ضد الأمراض العصبية التنكسية.

وأوضحت "الهيئة" أن تسجيل المستحضر جاء بعد تقييم لفعاليته وسلامته وجودته واستيفائه المعايير المطلوبة، مشيرة إلى أن الدراسات السريرية التي أُجريت على الدواء أظهرت نتائج إيجابية ملحوظة في تحسين حالة المرضى، حيث أظهرت الدراسة الأساسية لإثبات فعالية المستحضر انخفاضًا في درجات مقياس mFARS لدى المرضى الذين تلقوا العلاج مقارنة بالمستحضر الوهمي، وذلك بعد 48 أسبوعًا من الاستخدام، مما يؤكد فعالية الدواء في إبطاء تطور المرض. وتشير البيانات طويلة المدى إلى أن تأثير العلاج الإيجابي قد استمر لمدة تصل إلى ثلاث سنوات، مقارنةً بالتدهور الطبيعي

المتوقع للمرض، مما يدعم الفائدة السريرية المستمرة للدواء.

وأشارت "الغذاء والدواء" إلى أن الدراسات السريرية أظهرت أعراضًا جانبية للدواء كان أكثرها شيوعًا زيادة مستويات إنزيمات الكبد في الدم، والصداع، وآلام الظهر، والغثيان والقيء، وفقدان الشهية ونزول الوزن، بالإضافة إلى وجود تعارضات مع عصير الجريب فروت والأدوية التي تؤثر في إنزيم CYP3A4.

وفي إطار حرصها على دعم وتيسير الوصول إلى العلاجات الفعّالة، لاسيما في مجال الأمراض النادرة والمستعصية، التي غالبًا ما تعاني من نقص في الخيارات العلاجية المتاحة، أطلقت الهيئة برنامج الأدوية اليتيمة، الذي يُعد من الركائز الإستراتيجية لتعزيز الابتكار الدوائي وتلبية الاحتياجات الطبية، بما ينسجم مع مستهدفات برنامج تحول القطاع الصحي، أحد برامج رؤية المملكة 2030 في تحسين جودة الرعاية الصحية.

ويعرّف الدواء اليتيم بأنه المخصص لعلاج مرض نادر أو حالة نادرة تؤثر في أقل من خمسة أفراد من كل 10 آلاف فرد في المملكة العربية السعودية، ويمنح البرنامج مزايا للشركة الراغبة في تسجيل الأدوية اليتيمة للأمراض النادرة تتضمن الاجتماعات المسبقة قبل تقديم ملف التسجيل، والأولوية في تسجيل المستحضر، والاستشارات العلمية المقدمة من قطاع الدواء.

وللمزيد من التفاصيل يمكن الاطلاع على "دليل الأدوية اليتيمة" المنشور على موقع "الهيئة" الإلكتروني (https://www.sfda.gov.sa/ar/regulations/88482)،

أو التواصل عبر البريد الإلكتروني: (https://designation.drug@sfda.gov.sa).