



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/344876/2023  
EMA/H/C/005145

## Evrysdi (*risdiplam*)

Общ преглед на Evrysdi и основания за разрешаване в ЕС

### Какво представлява Evrysdi и за какво се използва?

Evrysdi е лекарство, което се използва за лечение на пациенти с 5q спинална мускулна атрофия (СМА), генетично заболяване, което причинява слабост и изтощаване на мускулите, в това число на белодробните мускули. Предназначен е за пациенти със СМА Тип 1, Тип 2 или Тип 3 или за пациенти с 1 до 4 копия от ген, наречен *SMN2*.

СМА се счита за рядко заболяване и Evrysdi е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 26 февруари 2019 г. Допълнителна информация за лекарства сираци можете да намерите тук: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145).

Evrysdi съдържа активното вещество рисдиплам (*risdiplam*).

### Как се използва Evrysdi?

Лечението с Evrysdi трябва да бъде започнато от лекар с опит в лечението на СМА. Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

Evrysdi се приема през устата веднъж дневно след хранене по приблизително едно и също време всеки ден. Ако пациентът не може да преглъща, Evrysdi може да се прилага в стомаха чрез тръба през носа или кожата.

За повече информация относно употребата на Evrysdi вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

### Как действа Evrysdi?

При пациентите със СМА липсва протеин, наречен протеин на „моторния неврон на преживяемост“ (*SMN*), без който моторните неврони (нервни клетки в гръбначния стълб, които контролират движението на мускулите) не могат да функционират нормално. В производството на протеина *SMN* участват два гена — *SMN1* и *SMN2*. При пациентите със СМА липсва генът *SMN1*, но се откриват едно или повече копия от гена *SMN2*. Те произвеждат главно къс *SMN* протеин, който не работи така добре, както протеинът с пълна дължина.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Активното вещество в Evrysdi, ридиплам, е малка молекула, позволяваща на гена *SMN2* да произвежда протеина с пълна дължина, който може да функционира нормално. Очаква се, че по този начин ще се повиши преживяемостта на моторните неврони, което ще намали симптомите на заболяването и ще забави развитието му.

## **Какви ползи от Evrysdi са установени в проучванията?**

В 2 основни проучвания при пациенти със СМА е показано, че Evrysdi е ефективен за подобряване на двигателната функция.

В първото проучване, проведено при 41 деца на възраст от 2 до 7 месеца със СМА Тип 1 (най-тежката разновидност), е показано, че 29 % (12 от 41) от децата са способни да седят без подкрепа за повече от 5 секунди след 12 месеца на лечение с Evrysdi. В предишни наблюдения на деца със СМА е установено, че те никога не са в състояние да седят без подкрепа.

Във второто проучване при 180 пациенти със СМА Тип 2 и 3 на възраст до 25 години е показано леко подобрене на двигателната функция (измерено чрез скала, наречена MFM32) в групата на пациентите, лекувани с Evrysdi: след 12 месеца на лечение е отбелязана промяна от 1,6 точки спрямо плацебо (сляпо лечение) по скала от 100 точки.

Данните от допълнително проучване, обхващащо 18 новородени деца на възраст до 6 седмици в началото на лечението, подкрепят употребата на Evrysdi при диагностицирани със СМА новородени, които обаче все още не показват симптоми. От седемте деца, които приемат Evrysdi в продължение на най-малко 12 месеца, шест са достигнали етапните цели (като например седене без подкрепа), които обикновено не могат да бъдат постигнати от нелекувани деца с 2 копия на *SMN2*.

## **Какви са рисковете, свързани с Evrysdi?**

За пълния списък на всички нежелани реакции и ограничения, съобщени при Evrysdi, вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Evrysdi (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват повишена температура, обрив, диария и главоболие.

## **Защо Evrysdi е разрешен за употреба в ЕС?**

Ефектите от Evrysdi върху развитието на двигателната функция при пациенти със СМА Тип 1, 2 и 3 се считат за значими, особено предвид сериозността на заболяването. При деца със СМА Тип 1, най-тежката форма на заболяването, благодарение на Evrysdi децата могат да седят без подкрепа повече от 5 секунди след една година на лечение, което е невъзможно без лечение.

Evrysdi е от полза също за пациенти, при които СМА (Тип 2 и 3) се отключва по-късно, въпреки че ефектите при тези пациенти са умерени. Счита се, че нежеланите реакции от Evrysdi подлежат на овладяване. Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Evrysdi са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

## **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Evrysdi?**

Фирмата, която предлага Evrysdi, ще предостави данни от дългосрочно проучване за ефектите на лекарството при пациенти с 1 до 4 копия от гена *SMN2* в сравнение с прогресията на заболяването при пациенти, които не са лекувани с Evrysdi.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Evrysdi, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Evrysdi непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Evrysdi, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

### **Допълнителна информация за Evrysdi:**

Evrysdi получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 26 март 2021 г.

Допълнителна информация за Evrysdi можете да намерите на уебсайта на Агенцията:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi).

Дата на последно актуализиране на текста 08-2023.