



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplamum*)

Přehled pro přípravek Evrysdi a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Evrysdi a k čemu se používá?

Evrysdi je léčivý přípravek používaný k léčbě pacientů se spinální svalovou atrofií vázanou na dlouhé raménko 5. chromozomu, což je genetické onemocnění, které způsobuje slabost a úbytek svalů včetně dýchacích svalů. Je určen k léčbě pacientů se spinální svalovou atrofií 1., 2. nebo 3. typu nebo pacientů, kteří vykazují až 4 kopie genu označovaného jako *SMN2*.

Spinální svalová atrofie je vzácné onemocnění a přípravek Evrysdi byl označen dne 26. února 2019 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Léčivý přípravek Evrysdi obsahuje léčivou látku risdiplam.

Jak se přípravek Evrysdi používá?

Léčbu přípravkem Evrysdi musí zahájit lékař, který má zkušenosti s léčbou spinální svalové atrofie. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Přípravek Evrysdi se užívá ústy jednou denně po jídle vždy přibližně ve stejnou denní dobu. Pacientům, kteří nejsou schopni polykat, lze přípravek Evrysdi podávat pomocí sondy zavedené nosem nebo přes kůži do žaludku.

Více informací o používání přípravku Evrysdi naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Evrysdi působí?

Pacienti se spinální svalovou atrofií mají nedostatek bílkoviny zvané protein zprostředkující „přežití motoneuronu“ (SMN), který je nezbytný pro normální fungování motoneuronů (nervových buněk v míše, které řídí pohyb svalů). Na tvorbě proteinu SMN se podílejí dva geny: *SMN1* a *SMN2*. Pacienti se spinální svalovou atrofií trpí nedostatkem genu *SMN1*, mají však jednu nebo více kopií genu *SMN2*, jenž většinou vytváří krátký protein SMN, který nefunguje tak dobře jako protein o plné délce.

Léčivá látka v přípravku Evrysdi, risdiplam, je malá molekula, která umožňuje genu *SMN2* vytvářet protein o plné délce, který může normálně fungovat. To by podle všeho mělo zvyšovat míru přežití motoneuronů, což vede ke zmírnění stávajících příznaků onemocnění a zpomalení jeho zhoršování.

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



Jaké přínosy přípravku Evrysdi byly prokázány v průběhu studií?

Účinnost přípravku Evrysdi při zlepšování motorických funkcí byla prokázána ve dvou hlavních studiích u pacientů trpících spinální svalovou atrofií.

Ze studie, do které bylo zařazeno 41 kojenců ve věku od 2 do 7 měsíců se spinální svalovou atrofií 1. typu (nejzávažnější typ), vyplynulo, že po 12 měsících léčby přípravkem Evrysdi bylo 29 % (12 ze 41) kojenců schopno sedět bez pomoci po dobu delší než 5 sekund. Při dřívějších pozorováních kojenců se spinální svalovou atrofií bylo zjištěno, že nikdy nejsou schopni sedět bez pomoci.

Druhá studie, do které bylo zařazeno 180 pacientů se spinální svalovou atrofií 2. a 3. typu ve věku až 25 let, prokázala u pacientů léčených přípravkem Evrysdi mírné zlepšení motorických funkcí (na základě měření pomocí škály zvané MFM32): v porovnání s placebem (neúčinným přípravkem) byl na škále 100 bodů po 12 měsících léčby zaznamenán rozdíl o 1,6 bodu.

Údaje z další studie zahrnující 18 novorozenců ve věku do 6 týdnů na začátku léčby podporují použití přípravku Evrysdi u dětí, jimž byla diagnostikována spinální svalová atrofie, ale ještě se u nich neprojevily příznaky. Ze 7 dětí, které dostávaly Evrysdi po dobu nejméně 12 měsíců, jich 6 dosáhlo milníků (např. sed bez pomoci), kterých by neléčené děti se 2 kopiemi genu *SMN2* normálně nedosáhly.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Evrysdi?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Evrysdi je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Evrysdi (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou horečka, vyrážka, průjem a bolest hlavy.

Na základě čeho byl přípravek Evrysdi registrován v EU?

Účinky přípravku Evrysdi na rozvoj motorických funkcí u pacientů se spinální svalovou atrofií 1., 2. a 3. typu byly považovány za relevantní, zejména s ohledem na závažnost onemocnění. U dětí se spinální svalovou atrofií 1. typu, což je nejzávažnější forma onemocnění, umožňuje přípravek Evrysdi kojencům po jednom roce léčby sedět bez pomoci po dobu delší než 5 sekund, čehož by bez léčby nebyli schopni.

Přípravek Evrysdi je přínosný také u pacientů s pozdějším rozvojem spinální svalové atrofie (2. a 3. typ), ačkoliv účinky u těchto pacientů jsou mírné. Nežádoucí účinky přípravku Evrysdi se považují za zvladatelné. Evropská agentura pro léčivé přípravky tudíž rozhodla, že přínosy přípravku Evrysdi převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Evrysdi?

Společnost, která přípravek Evrysdi dodává na trh, předloží údaje z dlouhodobé studie zaměřené na účinky tohoto přípravku u pacientů s až 4 kopiemi genu *SMN2* ve srovnání s rozvojem onemocnění u pacientů nepodstupujících léčbu přípravkem Evrysdi.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Evrysdi, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Evrysdi průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Evrysdi jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Evrysdi

Přípravku Evrysdi bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 26. března 2021.

Další informace o přípravku Evrysdi jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 08-2023.