



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplam*)

En oversigt over Evrysdi, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Evrysdi, og hvad anvendes det til?

Evrysdi er et lægemiddel, der anvendes til behandling af patienter med den genetiske sygdom 5q spinal muskelatrofi (SMA), der forårsager svaghed og svind i musklerne, herunder vejrtrækningsmusklerne. Det er beregnet til patienter med SMA type 1, type 2 eller type 3 eller til dem, der har op til 4 kopier af et gen, der kaldes *SMN2*.

SMA er sjælden, og Evrysdi blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 26. februar 2019. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme findes her:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi indeholder det aktive stof risdiplam.

Hvordan anvendes Evrysdi?

Behandling med Evrysdi skal indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af SMA. Lægemidlet fås kun på recept.

Evrysdi tages gennem munden én gang dagligt efter et måltid på omtrent samme tidspunkt hver dag. Evrysdi kan gives via en sonde gennem næsen eller huden ned til maven hos patienter, der ikke kan sluge tabletter.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Evrysdi, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Evrysdi?

Patienter med SMA mangler et såkaldt "survival motorneuron" (SMN)-protein, som er afgørende for, at motorneuroner (nerveceller i rygmargen, der styrer muskelbevægelser) fortsat kan fungere normalt. To gener, *SMN1* og *SMN2*, medvirker ved dannelsen af SMN-proteinet. Patienter med SMA mangler *SMN1*-genet, men har en eller flere kopier af *SMN2*-genet, der som regel producerer et kort SMN-protein, som ikke virker lige så godt som et protein i fuld længde.

Det aktive stof i Evrysdi, risdiplam, er et lille molekyle, som gør det muligt for *SMN2*-genet at producere et protein i fuld længde, der fungerer normalt. Dette forventes at få de motoriske neuroner



til at overleve længere og derved mindske de nuværende sygdomssymptomer og bremse sygdommens udvikling.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Evrysdi?

Evrysdi viste sig i 2 hovedstudier at være effektivt til at forbedre den motoriske funktion hos patienter med SMA.

Et studie hos 41 småbørn i alderen 2-7 måneder med type 1-SMA (den alvorligste type) viste, at 29 % (12 ud af 41) af børnene var i stand til at sidde uden støtte i mere end 5 sekunder efter 12 måneders behandling med Evrysdi. Tidligere observationer af spædbørn med SMA har vist, at de aldrig er i stand til at sidde uden støtte.

Et andet studie af 180 patienter op til 25 år med SMA type 2 og type 3 viste en let forbedring i den motoriske funktion (målt ved hjælp af en skala kaldet MFM32) hos patienter behandlet med Evrysdi. Der var en forskel på 1,6 point i forhold til placebo (en uvirksom behandling) på en 100-punktsskala efter 12 måneders behandling.

Data fra et supplerende studie med 18 nyfødte spædbørn på op til 6 uger ved behandlingsstart understøtter anvendelsen af Evrysdi hos spædbørn, der er diagnosticeret med SMA, men som endnu ikke udviser symptomer. Af de syv børn, der fik Evrysdi i mindst 12 måneder, nåede seks børn milepæle (såsom at sidde uden støtte), som normalt ikke kunne nås af ubehandlede børn med 2 kopier af *SMN2*.

Hvilke risici er der forbundet med Evrysdi?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Evrysdi fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Evrysdi (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er bl.a. feber, udslæt, diarré og hovedpine.

Hvorfor er Evrysdi godkendt i EU?

Virkningerne af Evrysdi på udviklingen af den motoriske funktion hos patienter med SMA type 1, 2 og 3 blev anset for relevante, navnlig i betragtning af sygdommens sværhedsgrad. Hos børn med SMA type 1, som er den alvorligste form af sygdommen, kan småbørn, der får Evrysdi, sidde uden støtte i mere end 5 sekunder efter et års behandling, hvilket ikke ville være muligt uden behandling.

Evrysdi gavner desuden patienter, der får SMA (type 2 og 3) senere, selvom virkningen hos disse patienter er beskeden. De indberettede bivirkninger ved Evrysdi vurderes at være håndterbare. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Evrysdi opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Evrysdi anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Evrysdi, vil fremlægge oplysninger fra et langtidsstudie af virkningerne af lægemidlet hos patienter med op til 4 kopier af *SMN2*-genet, sammenlignet med sygdomsudviklingen hos patienter, der ikke er blevet behandlet med Evrysdi.

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Evrysdi anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Evrysdi løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Evrysdi vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Evrysdi

Evrysdi fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 26. marts 2021.

Yderligere information om Evrysdi findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 08-2023.