



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*Risdiplam*)

Übersicht über Evrysdi und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Evrysdi und wofür wird es angewendet?

Evrysdi ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Patienten mit 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (SMA), einer genetischen Erkrankung, die Muskelschwäche und Muskelschwund, einschließlich der Lungenmuskulatur, verursacht. Es ist für Patienten mit SMA Typ 1, Typ 2 oder Typ 3 vorgesehen, oder für Patienten, die bis zu 4 Kopien eines Gens namens *SMN2* aufweisen.

SMA ist selten, und Evrysdi wurde am 26. Februar 2019 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi enthält den Wirkstoff Risdiplam.

Wie wird Evrysdi angewendet?

Die Behandlung mit Evrysdi muss von einem mit der Behandlung von SMA erfahrenen Arzt eingeleitet werden. Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.

Evrysdi wird einmal täglich nach einer Mahlzeit jeweils etwa zur gleichen Zeit über den Mund eingenommen. Bei Patienten, die nicht schlucken können, kann Evrysdi über eine durch die Nase oder die Haut zum Magen führende Sonde verabreicht werden.

Weitere Informationen zur Anwendung von Evrysdi entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Evrysdi?

Patienten mit SMA fehlt ein Protein, das als „Survival Motor Neuron“(SMN)-Protein bezeichnet wird und das von zentraler Bedeutung ist, damit Motoneuronen (Nervenzellen im Rückenmark, die Muskelbewegungen steuern) weiterhin normal funktionieren. Zwei Gene, *SMN1* und *SMN2*, sind an der Produktion des SMN-Proteins beteiligt. Patienten mit SMA fehlt das *SMN1*-Gen, haben aber eine oder mehr Kopien des *SMN2*-Gens, die in den meisten Fällen ein kurzes SMN-Protein produzieren, das nicht so gut funktioniert wie ein Protein voller Länge.

Der Wirkstoff in Evrysdi, Risdiplam, ist ein kleines Molekül, das es dem *SMN2*-Gen ermöglicht, das Protein in voller Länge zu produzieren, das normal funktionieren kann. Es wird davon ausgegangen,

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



dass dadurch das Überleben der Motoneuronen verlängert wird und somit die vorhandenen Symptome der Erkrankung reduziert und ihr Fortschreiten verlangsamt werden.

Welchen Nutzen hat Evrysdi in den Studien gezeigt?

In zwei Hauptstudien mit Patienten mit SMA wurde gezeigt, dass Evrysdi die motorische Funktionsfähigkeit wirksam verbessert.

Eine mit 41 Säuglingen im Alter von 2 bis 7 Monaten mit SMA Typ 1 (dem schwersten Typ) durchgeführte Studie hat gezeigt, dass 29 % (12 von 41) der Säuglinge nach einer 12-monatigen Behandlung mit Evrysdi in der Lage waren, länger als 5 Sekunden ohne Unterstützung zu sitzen. In früheren Beobachtungen von Säuglingen mit SMA wurde festgestellt, dass sie zu keinem Zeitpunkt in der Lage waren, ohne Unterstützung zu sitzen.

In einer zweiten Studie mit 180 Patienten mit SMA Typ 2 und Typ 3 im Alter von bis zu 25 Jahren wurde eine leichte Verbesserung der motorischen Funktionsfähigkeit (gemessen anhand einer Beurteilungsskala namens MFM32) bei mit Evrysdi behandelten Patienten gezeigt: Nach 12-monatiger Behandlung war ein Unterschied zu Placebo (einer Scheinbehandlung) von 1,6 Punkten auf einer 100-Punkte-Skala zu verzeichnen.

Daten aus einer zusätzlichen Studie, an der 18 Neugeborene im Alter von bis zu 6 Wochen bei Behandlungsbeginn teilnahmen, stützen die Anwendung von Evrysdi bei Säuglingen, bei denen SMA diagnostiziert wurde, die jedoch noch keine Symptome aufweisen. Von den sieben Kindern, die Evrysdi mindestens 12 Monate lang erhielten, erreichten sechs Meilensteine (z. B. Sitzen ohne Unterstützung), die normalerweise von unbehandelten Kindern mit zwei SMN2-Kopien nicht erreicht werden konnten.

Welche Risiken sind mit Evrysdi verbunden?

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Evrysdi berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Evrysdi (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Fieber, Ausschlag, Durchfall und Kopfschmerzen.

Warum wurde Evrysdi in der EU zugelassen?

Die Auswirkungen von Evrysdi auf die Entwicklung der motorischen Funktionsfähigkeit bei Patienten mit SMA Typ 1, 2 und 3 wurden insbesondere angesichts der Schwere der Erkrankung als relevant erachtet. Bei Kindern mit SMA Typ 1, der schwersten Form der Erkrankung, ermöglicht Evrysdi es Säuglingen, nach einjähriger Behandlung länger als 5 Sekunden ohne Unterstützung zu sitzen, wozu sie ohne Behandlung nicht in der Lage wären.

Evrysdi bietet außerdem einen Nutzen bei Patienten mit später einsetzender SMA (Typ 2 und 3), obwohl die Wirkungen bei diesen Patienten lediglich moderat sind. Die im Zusammenhang mit Evrysdi gemeldeten Nebenwirkungen werden als beherrschbar erachtet. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Evrysdi gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Evrysdi ergriffen?

Das Unternehmen, das Evrysdi in Verkehr bringt, wird Daten aus einer Langzeitstudie zu den Wirkungen des Arzneimittels bei Patienten mit 4 Kopien des *SMN2*-Gens im Vergleich zum Fortschreiten der Erkrankung bei Patienten, die nicht mit Evrysdi behandelt wurden, vorlegen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Evrysdi, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Evrysdi kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Evrysdi werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Evrysdi

Evrysdi erhielt am 26. März 2021 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Evrysdi finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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

Diese Übersicht wurde zuletzt im 08-2023 aktualisiert.