



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplam*)

Ανασκόπηση του Evrysdi και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Evrysdi και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Evrysdi είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών με νωτιαία μυϊκή ατροφία (SMA) 5q, μιας γενετικής νόσου που προκαλεί αδυναμία και ατροφία των μυών, συμπεριλαμβανομένων των πνευμονικών μυών. Προορίζεται για ασθενείς με SMA τύπου 1, τύπου 2 ή τύπου 3, ή για ασθενείς με έως 4 αντίγραφα ενός γονιδίου που ονομάζεται *SMN2*.

Η SMA είναι σπάνια ασθένεια και το Evrysdi χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 26 Φεβρουαρίου 2019. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Το Evrysdi περιέχει τη δραστική ουσία risdiplam.

Πώς χρησιμοποιείται το Evrysdi;

Η έναρξη της θεραπείας με Evrysdi πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με πείρα στη θεραπεία της SMA. Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Το Evrysdi λαμβάνεται από το στόμα μία φορά την ημέρα μετά από γεύμα, περίπου την ίδια ώρα κάθε ημέρα. Στους ασθενείς που δεν μπορούν να καταπιούν, το Evrysdi μπορεί να χορηγείται στο στομάχι μέσω σωλήνα διαμέσου της μύτης ή του δέρματος.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Evrysdi, δείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Evrysdi;

Οι ασθενείς με SMA εμφανίζουν έλλειψη μιας πρωτεΐνης που ονομάζεται «πρωτεΐνη επιβίωσης του κινητικού νευρώνα» (survival motor neuron, *SMN*), η οποία είναι απαραίτητη στους κινητικούς νευρώνες (νευρικά κύτταρα της σπονδυλικής στήλης που ελέγχουν τις κινήσεις των μυών) για να μπορούν να συνεχίζουν να λειτουργούν φυσιολογικά. Στην παραγωγή της πρωτεΐνης *SMN* συμμετέχουν δύο γονίδια, το *SMN1* και το *SMN2*. Οι ασθενείς με SMA παρουσιάζουν έλλειψη του γονιδίου *SMN1* αλλά διαθέτουν ένα ή περισσότερα αντίγραφα του γονιδίου *SMN2*, το οποίο παράγει κυρίως μια μικρότερου μήκους πρωτεΐνη *SMN* η οποία δεν λειτουργεί τόσο καλά όσο η πλήρους μήκους πρωτεΐνη.

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



Η δραστική ουσία του Evrysdi, η risdiplam, είναι ένα μικρό μόριο που επιτρέπει στο γονίδιο *SMN2* να παράγει την πλήρους μήκους πρωτεΐνη, η οποία μπορεί να δρα φυσιολογικά. Κατ' αυτόν τον τρόπο αναμένεται να αυξηθεί η επιβίωση των κινητικών νευρώνων, περιορίζοντας τα τρέχοντα συμπτώματα της νόσου και επιβραδύνοντας την εξέλιξή της.

Ποια είναι τα οφέλη του Evrysdi σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Evrysdi αποδείχθηκε αποτελεσματικό στη βελτίωση της κινητικής λειτουργίας σε 2 βασικές μελέτες σε ασθενείς με SMA.

Από τη μια μελέτη που διενεργήθηκε σε 41 βρέφη ηλικίας 2 έως 7 μηνών με SMA τύπου 1 (ο πιο σοβαρός τύπος) προκύπτει ότι το 29 % (12 από τα 41) των βρεφών μπορούσαν να κάθονται χωρίς υποστήριξη για περισσότερα από 5 δευτερόλεπτα ύστερα από θεραπεία 12 μηνών με Evrysdi. Από παλαιότερες παρατηρήσεις των βρεφών με SMA είχε προκύψει ότι τα βρέφη δεν μπορούσαν ποτέ να παραμείνουν σε καθιστή θέση χωρίς υποστήριξη.

Μια δεύτερη μελέτη, στην οποία μετείχαν 180 ασθενείς με SMA τύπου 2 και τύπου 3 έως 25 ετών, κατέδειξε μικρή βελτίωση της κινητικής λειτουργίας (όπως μετρήθηκε με τη χρήση της κλίμακας μέτρησης MFM32) σε ασθενείς που έλαβαν θεραπεία με Evrysdi: η διαφορά ήταν 1,6 βαθμών σε σύγκριση με το εικονικό φάρμακο σε κλίμακα μέτρησης 100 βαθμών, ύστερα από 12 μήνες θεραπείας.

Τα δεδομένα από μια πρόσθετη μελέτη στην οποία μετείχαν 18 νεογέννητα βρέφη ηλικίας έως 6 εβδομάδων κατά την έναρξη της θεραπείας υποστηρίζουν τη χρήση του Evrysdi σε βρέφη που έχουν διαγνωστεί με SMA αλλά δεν εμφανίζουν ακόμη συμπτώματα. Από τα επτά παιδιά που έλαβαν Evrysdi για τουλάχιστον 12 μήνες, τα έξι πέτυχαν ορόσημα (όπως κάθισμα χωρίς υποστήριξη), τα οποία κανονικά δεν μπορούν να επιτευχθούν από παιδιά με 2 αντίγραφα του γονιδίου *SMN2* που δεν έχουν λάβει θεραπεία.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Evrysdi;

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και περιορισμών που έχουν αναφερθεί με το Evrysdi, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Evrysdi (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) περιλαμβάνουν πυρετό, ερύθημα, διάρροια και κεφαλαλγία.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Evrysdi στην ΕΕ;

Τα αποτελέσματα του Evrysdi στην ανάπτυξη της κινητικής λειτουργίας σε ασθενείς με SMA τύπου 1, 2 και 3 κρίθηκαν ικανοποιητικά, λαμβανομένης ιδιαιτέρως υπόψη της σοβαρότητας της ασθένειας. Σε παιδιά με SMA τύπου 1 - η πιο σοβαρή μορφή της ασθένειας αυτής - το Evrysdi αποδείχθηκε αποτελεσματικό σε βρέφη, τα οποία μπόρεσαν να κάθονται χωρίς υποστήριξη για περισσότερα από 5 δευτερόλεπτα ύστερα από ένα έτος θεραπείας, κάτι που δεν θα ήταν δυνατόν χωρίς τη χορήγηση του φαρμάκου.

Το Evrysdi είναι επίσης αποτελεσματικό σε ασθενείς που εκδηλώνουν SMA (τύπου 2 και 3) αργότερα στη ζωή τους, παρά το γεγονός ότι η επίδραση σε αυτούς τους ασθενείς είναι μέτρια. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρθηκαν με το Evrysdi θεωρούνται διαχειρίσιμες. Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Evrysdi υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Evrysdi;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Evrysdi θα παράσχει δεδομένα από μελέτη μακράς διάρκειας για τα αποτελέσματα του φαρμάκου σε ασθενείς με έως 4 αντίγραφα του γονιδίου *SMN2* σε σύγκριση με τον τρόπο εξέλιξης της νόσου σε ασθενείς που δεν έχουν λάβει θεραπεία με το Evrysdi.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Evrysdi.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Evrysdi τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Evrysdi αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Evrysdi

Το Evrysdi έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 26 Μαρτίου 2021.

Περισσότερες πληροφορίες για το Evrysdi διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 08-2023.