



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplaam*)

Ülevaade ravimist Evrysdi ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Evrysdi ja milleks seda kasutatakse?

Evrysdi on ravim, mida kasutatakse 5q spinaalse lihasatroofia (*spinal muscular atrophy, SMA*) raviks. See on geneetiline haigus, mis põhjustab lihaste, sealhulgas hingamislihaste nõrkust ja kõhetumist. Ravim on ette nähtud I, II või III tüüpi spinaalse lihasatroofiaga patsientidele või patsientidele, kellel on kuni 4 *SMN2*-geeni koopiat.

Spinaalne lihasatroofia esineb harva ja Evrysdi nimetati 26. veebruaril 2019 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav siin: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi sisaldab toimeainena risdiplaami.

Kuidas Evrysdit kasutatakse?

Ravi Evrysdiga peab alustama spinaalse lihasatroofia ravis kogenud arst. Evrysdi on retseptiravim.

Evrysdit võetakse suu kaudu üks kord ööpäevas pärast sööki, iga päev ligikaudu samal ajal. Patsientidele, kes ei suuda neelata, tohib Evrysdit manustada nina või naha kaudu makku viidud toruga.

Lisateavet Evrysdi kasutamise kohta saate pakendi infolehtelt või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Evrysdi toimib?

Spinaalse lihasatroofiaga patsientidel puudub SMN (*survival motor neuron*), nn motoneuroni ellujäämise valk, mis on vajalik motoneuronite (seljaaju närvirakud, mis reguleerivad lihaskontraktsiooni) normaalseks toimimiseks. Kaks geeni – *SMN1* ja *SMN2* – osalevad SMN-valgu tootmises. Spinaalse lihasatroofiaga patsientidel puudub *SMN1*-geen, kuid neil on vähemalt üks *SMN2*-geeni koopia, mille põhjal toodetakse peamiselt lühikest SMN-valku, mis ei toimi sama hästi kui täispikk valk.

Evrysdi toimeaine risdiplaam on väike molekul, mis võimaldab *SMN2*-geenil toota täispikka valku, mis toimib normaalselt. See eeldatavasti suurendab motoneuronite elumust, vähendades seeläbi haiguse olemasolevaid sümptomeid ja aeglustades haiguse progresseerumist.



Mis on uuringute põhjal Evrysdi kasulikkus?

Kahes põhiuuringus, milles osalesid spinaalse lihasatroofiaga patsiendid, tõendati Evrysdi efektiivsust motoorse funktsiooni parandamisel.

I tüüpi (kõige raskema) spinaalse lihasatroofiaga 41 imikul vanuses 2–7 kuud tehtud uuring tõendas, et pärast 12-kuulist ravi Evrysdiga suutis 29% imikutest (12 imikut 41st) vähemalt 5 sekundit ilma toeta istuda. Spinaalse lihasatroofiaga imikute kohta varem tehtud vaatlustes on leitud, et nad ei suuda kunagi istuda ilma toeta.

Teises uuringus, milles osales 180 II ja III tüüpi spinaalse lihasatroofiaga kuni 25-aastast patsienti, paranes pärast 12-kuulist ravi 100 punkti skaalal MFM32-möödikuga mõõdetud motoorne funktsioon veidi enam (1,6 punkti võrra) Evrysdiga ravitud patsientidel võrreldes platseeboga (näiv ravim).

Andmed lisauuringust, milles osales 18 imikut, kes olid ravi alguses vastsündinud (kuni 6-nädalased), toetavad ravi Evrysdiga imikutel, kellel on diagnoositud spinaalne lihasatroofia, kuid sümptomid veel ei avaldu. Seitsmest lapsest, kes said Evrysdit vähemalt 12 kuud, saavutasid kuus vahe-eesmärgid (nt toeta istumine), mis ei ole tavaliselt saavutatavad ravimata lastel, kellel on *SMN2*-geeni 2 koopiat.

Mis on Evrysdi riskid?

Evrysdi kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Evrysdi kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks palavik, lööve, kõhulahtisus ja peavalu.

Miks Evrysdi ELis heaks kiideti?

Evrysdi toimet I, II või III tüüpi spinaalse lihasatroofiaga patsientide motoorse funktsiooni arengule peeti oluliseks, eelkõige arvestades haiguse raskust. Spinaalse lihasatroofia kõige raskema, I tüübiga lastel võimaldab Evrysdi pärast aastast ravi vähemalt 5 sekundit ilma toeta istuda, mida nad ei suudaks ilma ravita.

Evrysdi on kasulik ka hiljem algava (II ja III tüüpi) spinaalse lihasatroofiaga patsientidele, kuigi nendel patsientidel on toime tagasihoidlik. Evrysdi kõrvalnähte peetakse hallatavaks. Seetõttu otsustas Euroopa Ravimiamet, et Evrysdi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Evrysdi ohutu ja efektiivne kasutamine?

Evrysdit turustav ettevõtte esitab andmed ravimi toime pikaajalisest uuringust patsientidel, kellel on kuni 4 *SMN2*-geeni koopiat, võrreldes haiguse progresseerumisega patsientidel, keda ei ole ravitud Evrysdiga.

Evrysdi ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Evrysdi kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Evrysdi kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Evrysdi kohta

Evrysdi on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 26. märtsil 2021.

Lisateave Evrysdi kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 08-2023.