



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplaami*)

Yleistiedot Evrysdi-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Evrysdi on ja mihin sitä käytetään?

Evrysdi on lääke, jolla hoidetaan kromosomiin 5q liittyvää spinaalista lihasatrofiaa sairastavia potilaita. Se on geneettinen sairaus, joka aiheuttaa lihasheikkoutta ja lihasten, myös keuhkojen lihasten, surkastumista. Valmiste on tarkoitettu potilaille, joilla on tyypin 1, 2 tai 3 spinaalinen lihasatrofia tai joilla on enintään 4 *SMN2*-geenin kopiota.

Spinaalinen lihasatrofia on harvinainen sairaus. Evrysdi nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 26. helmikuuta 2019. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdin vaikuttava aine on risdiplaami.

Miten Evrysdia käytetään?

Evrysdi-hoidon saa aloittaa lääkäri, joka on perehtynyt spinaalisen lihasatrofian hoitoon. Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä.

Evrysdi otetaan suun kautta kerran vuorokaudessa aterian jälkeen, suunnilleen samaan aikaan joka päivä. Jos potilas ei kykene nielemään, Evrysdi voidaan antaa letkulla nenän kautta tai vatsanpeitteiden läpi.

Lisätietoa Evrysdin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Evrysdi vaikuttaa?

Spinaalista lihasatrofiaa sairastavilta potilailta puuttuu ns. survival motor neuron (SMN) -proteiini, joka on liikehermosolujen (lihasten liikkeitä hallitsevien, selkäytimessä olevien hermosolujen) normaalin toiminnan kannalta välttämätön. SMN-proteiinin tuotantoon osallistuvat kaksi geeniä, *SMN1* ja *SMN2*. Spinaalista lihasatrofiaa sairastavilta potilailta puuttuu *SMN1*-geeni, mutta heillä on yksi tai useampi *SMN2*-geenin kopio. *SMN2* tuottaa pääasiassa lyhyttä SMN-proteiinia, joka ei toimi yhtä hyvin kuin täyspitkä proteiini.

Evrysdin vaikuttava aine risdiplaami on pieni molekyyli, jonka avulla *SMN2*-geeni kykenee tuottamaan täyspitkää proteiinia, joka voi toimia normaalisti. Tämän odotetaan parantavan liikehermosolujen eloonjäämistä ja siten vähentävän potilaan oireita ja hidastavan sairauden etenemistä.

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



Mitä hyötyä Evrysdistä on havaittu tutkimuksissa?

Evrysdin osoitettiin parantavan tehokkaasti motorista toimintaa kahdessa päätutkimuksessa, joihin osallistui spinaalista lihasatrofiaa sairastavia potilaita.

Yhteen tutkimukseen osallistui 41 lasta, jotka olivat iältään 2–7 kuukautta ja sairastivat tyyppin 1 spinaalista lihasatrofiaa (vakavin tyyppi). Tutkimuksessa kävi ilmi, että 29 prosenttia lapsista (12 lasta 41:stä) kykeni istumaan ilman tukea 5 sekunnin ajan 12 kuukauden Evrysdin-hoidon jälkeen. Aiemmin spinaalista lihasatrofiaa sairastavista lapsista on todettu, etteivät he koskaan kykene istumaan ilman tukea.

Toiseen tutkimukseen osallistui 180 enintään 25-vuotiasta potilasta, joilla oli tyyppin 2 tai 3 spinaalinen lihasatrofia. Siinä motorisen toiminnan osoitettiin parantuneen hieman (MFM32-arviointiasteikolla mitattuna) Evrysdin-hoitoa saaneilla potilailla. Ero oli 12 kuukauden hoidon jälkeen lumelääkkeeseen verrattuna 1,6 pistettä 100 pisteen asteikolla mitattuna.

Tiedot lisätutkimuksesta, johon osallistui 18 vastasyntyntä lasta, jotka olivat hoidon alkaessa enintään 6 viikon ikäisiä, tukevat Evrysdin käyttöä lapsilla, joilla on diagnosoitu spinaalinen lihasatrofia, mutta joilla ei vielä ole oireita. Niistä seitsemästä lapsesta, jotka saivat Evrysdin vähintään 12 kuukauden ajan, kuusi saavutti välitavoitteita (kuten istuminen ilman tukea), joita hoitamattomat lapset eivät normaalisti pysty saavuttamaan, kun heillä on kaksi *SMN2*-proteiinin kopiota.

Mitä riskejä Evrysdin liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Evrysdin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Evrysdin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle 10:stä) ovat muun muassa kuume, ihottuma, ripuli ja päänsärky.

Miksi Evrysdin on hyväksytty EU:ssa?

Evrysdin vaikutusten katsottiin olevan merkityksellisiä tyyppin 1, 2 ja 3 spinaalista lihasatrofiaa sairastavien potilaiden motoristen toimintojen kehitykselle, etenkin sairauden vaikeus huomioon ottaen. Tyyppin 1 spinaalista lihasatrofiaa (sairauden vaikeinta muotoa) sairastavilla lapsilla Evrysdin mahdollisti vuoden kestäneen hoidon jälkeen lasten istumisen ilman tukea yli 5 sekunnin ajan, mitä he eivät pysty tekemään ilman hoitoa.

Evrysdistä on hyötyä myös potilaille, joiden spinaalinen lihasatrofia alkaa myöhemmin (tyypit 2 ja 3), joskin vaikutukset näillä potilailla ovat vähäisiä. Evrysdin haittavaikutusten katsotaan olevan hallittavissa. Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Evrysdin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Evrysdin turvallinen ja tehokas käyttö?

Evrysdin markkinoiva yhtiö toimittaa tietoja pitkäkestoisesta tutkimuksesta, jossa tutkitaan lääkkeen vaikutuksia potilailla, joilla on enintään neljä *SMN2*-geenin kopiota, verrattuna potilaisiin, jotka eivät ole saaneet Evrysdin.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Evrysdin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Evrysdiin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Evrysdistä ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Evrysdistä

Evrysdi sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 26. maaliskuuta 2021.

Lisää tietoa Evrysdistä on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evryydi.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 08-2023.