



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplam*)

Pregled informacija o lijeku Evrysdi i zašto je odobren u EU-u

Što je Evrysdi i za što se koristi?

Evrysdi je lijek namijenjen za liječenje bolesnika sa spinalnom mišićnom atrofijom (SMA) uzrokovanom mutacijom na kromosomu 5q, genetskom bolešću koja uzrokuje slabost i propadanje mišića, uključujući mišić pluća. Namijenjen je bolesnicima sa SMA-om tipa 1, tipa 2 ili tipa 3 ili onima koji imaju do 4 kopije gena poznatog pod nazivom *SMN2*.

SMA je rijetka bolest, a lijek Evrysdi dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 26. veljače 2019. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest nalazi se ovdje: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi sadrži djelatnu tvar risdiplam.

Kako se Evrysdi primjenjuje?

Terapiju lijekom Evrysdi mora započeti liječnik s iskustvom u liječenju SMA-a. Lijek se izdaje samo na recept.

Evrysdi se uzima kroz usta jedanput na dan nakon obroka, otprilike u isto vrijeme. U bolesnika koji ne mogu gutati Evrysdi se može primjenjivati putem cjevčice koja prolazi kroz nos ili kožu do želudca.

Za više informacija o primjeni lijeka Evrysdi pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Evrysdi?

Bolesnicima sa SMA-om nedostaje bjelančevina naziva „bjelančevina za preživljenje motoričkih neurona“ (SMN) neophodna za nastavak normalne funkcije motoričkih neurona (živčanih stanica u leđnoj moždini koje upravljaju pokretima mišića). Dva gena, *SMN1* i *SMN2*, uključena su u proizvodnju bjelančevine SMN. Bolesnicima sa SMA-om nedostaje gen *SMN1*, no imaju jednu ili više kopija gena *SMN2* koji uglavnom proizvodi kratka bjelančevina SMN koja ne funkcionira tako dobro kao bjelančevina pune duljine.

Djelatna tvar u lijeku Evrysdi, risdiplam, mala je molekula koja omogućuje genu *SMN2* da proizvede bjelančevinu pune duljine koja može normalno funkcionirati. Očekuje se da će se time povećati preživljenje motoričkih neurona kao i ublažiti postojeći simptomi bolesti te usporiti njezina progresija.

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



Koje su koristi od lijeka Evrysdi utvrđene u ispitivanjima?

Lijek Evrysdi pokazao se učinkovitim u poboljšavanju motoričke funkcije u dvama glavnim ispitivanjima u bolesnika koji boluju od SMA-a.

U jednom ispitivanju provedenom na 41 dojenčetu u dobi od 2 mjeseca do 7 mjeseci sa SMA-om tipa 1 (najteži tip) pokazalo se da je 29 % dojenčadi (njih 12 od 41) moglo sjediti bez potpore dulje od 5 sekundi nakon 12 mjeseci terapije lijekom Evrysdi. U prethodnim opažanjima u djece sa SMA-om pokazalo se da ona nikada ne mogu sjediti bez potpore.

Drugo ispitivanje u koje je bilo uključeno 180 bolesnika sa SMA-om tipa 2 i tipa 3 u dobi do 25 godina pokazalo je neznatno poboljšanje u motornoj funkciji (mjereno rezultatom na ljestvici naziva MFM32) u bolesnika na terapiji lijekom Evrysdi: nakon 12 mjeseci liječenja na ljestvici od 100 bodova došlo je do razlike od 1,6 bodova u odnosu na skupinu koja je primala placebo (prividno liječenje).

Podatci iz dodatnog ispitivanja na 18-ero novorođenčadi starih šest tjedana ili manje podržavaju početak terapije lijekom Evrysdi u novorođenčadi s dijagnosticiranim SMA-om koji još nemaju simptoma. Od sedmero djece koja su primala lijek Evrysdi barem 12 mjeseci, šest ih je ostvarilo zacrtane ciljeve (poput sjedenja bez potpore) što se u pravilu ne može postići u djece koja nisu na terapiji dvjema kopijama gena *SMN2*.

Koji su rizici povezani s lijekom Evrysdi?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s primjenom lijeka Evrysdi potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Evrysdi (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu vrućica, osip, proljev i glavobolja.

Zašto je lijek Evrysdi odobren u EU-u?

Učinci lijeka Evrysdi na razvoj motoričke funkcije u bolesnika sa SMA-om tipa 1, 2 i 3 smatrani su relevantnima, posebno s obzirom na težinu bolesti. U djece sa SMA-om tipa 1, što je najteži oblik bolesti, lijek Evrysdi dojenčadi omogućava da sjede bez potpore dulje od 5 sekundi nakon godine dana liječenja, što ne bi bilo moguće bez liječenja.

Evrysdi je također koristan u bolesnika kod kojih se bolest SMA (tip 2 i 3) pojavila kasnije, iako su učinci u tih bolesnika skromni. Smatra se da je nuspojave lijeka Evrysdi moguće kontrolirati. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Evrysdi nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Evrysdi?

Tvrtka koja lijek Evrysdi stavlja u promet dostavit će podatke iz dugoročnog ispitivanja o učincima lijeka u bolesnika s do četiri kopije gena *SMN2* u usporedbi s razvojem bolesti u bolesnika koji nisu primili terapiju lijekom Evrysdi.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Evrysdi nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Evrysdi kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Evrysdi pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Evrysdi

Lijek Evrysdi dobio je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 26. ožujka 2021.

Više informacija o lijeku Evrysdi dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:

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

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 8. 2023.