



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Evrysdi (*riszdiplám*)

Az Evrysdi-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer az Evrysdi és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

Az Evrysdi az izmok, így a légzőizmok gyengülését és sorvadását okozó genetikai betegség, az 5q spinális muszkuláris atrófia (SMA) kezelésére alkalmazott gyógyszer. A készítmény 1-es, 2-es vagy 3-as típusú SMA-ban szenvedő vagy az *SMN2* néven ismert gén legfeljebb 4 kópiájával rendelkező betegek számára javallt.

Mivel az SMA „ritkának” minősül, ezért az Evrysdi-t 2019. február 26-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145).

Az Evrysdi hatóanyaga a riszdiplám.

### **Hogyan kell alkalmazni az Evrysdi-t?**

Az Evrysdi-kezelést az SMA kezelésében tapasztalt orvosnak kell megkezdenie. A gyógyszer csak receptre kapható.

Az Evrysdi-t szájon át kell bevenni naponta egyszer, étkezés után, minden nap körülbelül ugyanabban az időpontban. Nyelésre képtelen betegeknél az Evrysdi orr-vagy borszondán keresztül a gyomorba adható.

Az Evrysdi alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

### **Hogyan fejti ki hatását az Evrysdi?**

Az SMA-ban szenvedő betegeknél hiányzik a „túlélő motoros neuron” (SMN) nevű fehérje, amely elengedhetetlen a motoros neuronok (az izmok mozgását vezérlő gerincvelői idegsejtek) megfelelő működéséhez. Az SMN-fehérje termelésében két gén, az *SMN1* és az *SMN2* vesz részt. Az SMA-ban szenvedő betegeknél hiányzik az *SMN1* gén, de szervezetükben megtalálható az *SMN2* gén egy vagy

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



több kópiája, amelyek többnyire egy, a teljes hosszúságú fehérjénél kevésbé jól működő, rövid SMN-fehérjét állítanak elő.

Az Evrydsi hatóanyaga, a riszdiplám, egy olyan kisméretű molekula, amely lehetővé teszi az *SMN2* gén számára, hogy teljes hosszúságú fehérjét állítson elő, amely rendes működésre képes. Ez várhatóan növeli a motoros neuronok túlélését, ezáltal csökkentve a betegség fennálló tüneteit és lelassítva annak progresszióját.

## **Milyen előnyei voltak az Evrydsi alkalmazásának a vizsgálatok során?**

Az Evrydsi SMA-ban szenvedő betegekkel végzett 2 fő vizsgálatban hatásosnak bizonyult a motoros funkció javításában.

Egy 41, 1-es (legsúlyosabb) típusú SMA-ban szenvedő, 2 és 7 hónapos kor közötti csecsemő bevonásával végzett vizsgálat azt mutatta, hogy 12 hónap Evrydsi-kezelést követően a csecsemők 29%-a (41-ből 12) tudott 5 másodpercnél tovább segítség nélkül ülni. SMA-ban szenvedő csecsemőkre vonatkozó korábbi megfigyelések szerint ezek a csecsemők segítség nélkül soha nem képesek ülni.

A második vizsgálat, amelyet 180, 2-es és 3-as típusú SMA-ban szenvedő, 25 évesnél nem idősebb beteg bevonásával végeztek, az (ún. MFM32 nevű értékelő skála segítségével mért) motoros funkció enyhe javulását igazolta az Evrydsi-vel kezelt betegeknél: 12 havi kezelést követően placebóhoz (hatóanyag nélküli kezeléshez) képest 1,6 pontos különbséget mértek egy 100 pontos skálán.

Egy 18, a kezelés kezdetekor legfeljebb 6 hetes újszülött csecsemő bevonásával végzett további vizsgálatból származó adatok alátámasztják az Evrydsi alkalmazását SMA-val diagnosztizált, de tüneteket még nem mutató csecsemőknél. A legalább 12 hónapig Evrydsi-t kapott hét gyermek közül hatnál olyan mérőldköveket értek el (például segítség nélküli ülés), amelyeket nem kezelt, az *SMN2* két kópiájával rendelkező gyermekeknél normális esetben nem lehetett volna elérni.

## **Milyen kockázatokkal jár az Evrydsi alkalmazása?**

Az Evrydsi alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Evrydsi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a láz, a kiütés, a hasmenés és a fejfájás.

## **Miért engedélyezték az Evrydsi forgalomba hozatalát az EU-ban?**

Az 1-es, 2-es és 3-as típusú SMA-ban szenvedő betegeknél relevánsnak tekintették az Evrydsi motoros funkció javulására kifejtett hatásait, különösen a betegség súlyosságát figyelembe véve. Az 1-es típusú SMA-ban (a betegség legsúlyosabb formájában) szenvedő gyermekeknél az Evrydsi lehetővé teszi a csecsemők számára, hogy egy évi kezelést követően több mint 5 másodpercig segítség nélkül üljenek, amire kezelés nélkül képtelenek lennének.

Az Evrydsi jótékony hatású azoknál a betegeknél is, akiknél később jelenik meg az SMA (2-es és 3-as típus), bár a hatás ezeknél a betegeknél mérsékelt. Az Evrydsi alkalmazásával kapcsolatban jelentett mellékhatások kezelhetőnek minősülnek. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Evrydsi alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban az Evrysdi biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

Az Evrysdi-t forgalmazó vállalat egy olyan hosszú távú vizsgálatból származó adatokat fog benyújtani, amelyben a gyógyszer hatásait tanulmányozzák olyan betegeknél, akiknél az *SMN2* gén legfeljebb 4 kópiája van jelen, összehasonlítva a betegség progresszióját az Evrysdi-vel nem kezelt betegekhez képest.

Az Evrysdi biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Evrysdi alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Evrysdi alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **Az Evrysdi-vel kapcsolatos egyéb információ**

2021. március 26-án az Evrysdi az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

Az Evrysdi-vel kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi).

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 08-2023.