



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplamas*)

Evrysdi apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Evrysdi ir kam jis vartojamas?

Evrysdi – tai vaistas, kuriuo gydoma 5q spinalinė raumenų atrofija (SRA) – genetinė liga, kuri sukelia raumenų, įskaitant plaučių raumenis, susilpnėjimą ir raumenų masės mažėjimą. Šis vaistas skirtas 1-ojo, 2-ojo ar 3-iojo tipo SRA sergantiems arba turintiems nuo vienos iki keturių *SMN2* geno kopijų pacientams.

SRA laikoma reta, todėl 2019 m. vasario 26 d. Evrysdi buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi sudėtyje yra veikliosios medžiagos risdiplamo.

Kaip vartoti Evrysdi?

Gydymą Evrysdi turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis SRA gydymo patirties. Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

Evrysdi vartojamas per burną kartą per parą po valgio, maždaug tuo pačiu metu kiekvieną dieną. Ryti negalintiems pacientams Evrysdi gali būti skiriamas naudojant vamzdelį per nosį ar odą į skrandį.

Daugiau informacijos apie Evrysdi vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Evrysdi?

SRA sergančių pacientų organizme trūksta baltymo, vadinamo išgyvenamumo motoriniu neuronu (angl. survival motor neuron, SMN), kuris būtinas tam, kad motoriniai neuronai (stuburo smegenų nervų ląstelės, kurios kontroliuoja raumenų judesius) normaliai funkcionuotų. Du genai – *SMN1* ir *SMN2* – dalyvauja gaminant SMN baltymą. SRA sergantys pacientai neturi *SMN1* geno, bet turi vieną ar daugiau *SMN2* geno kopijų, kuris daugiausia gamina trumpą SMN baltymą; jis veikia ne taip gerai, kaip viso ilgio baltymas.

Veikioji Evrysdi medžiaga risdiplamas yra nedidelė molekulė, padedanti *SMN2* genui gaminti viso ilgio baltymą, kuris gali veikti normaliai. Taip tikimasi pailginti motorinių neuronų išgyvenamumą ir sumažinti ligos simptomus bei sulėtinti jos progresavimą.

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



Kokia Evrysdi nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus 2 pagrindinius tyrimus, kuriuose dalyvavo SRA sergantys pacientai, nustatyta, kad Evrysdi veiksmingai pagerina motorinę funkciją.

Viename tyrime, kuriame dalyvavo 41 2–7 mėnesių kūdikis, sergantis 1-jo tipo SRA (sunkiausia ligos forma), nustatyta, kad po 12 mėnesių gydymo Evrysdi 29 proc. (12 iš 41) kūdikių galėjo sėdėti be pagalbos daugiau kaip 5 sekundes. Peržiūrėjus ankstesnius SRA sergančių kūdikių atvejus, nustatyta, kad jie niekada negalėjo sėdėti be pagalbos.

Atliekant antrąjį tyrimą su 180 pacientų iki 25 metų amžiaus, sergančių 2-ojo ir 3-ojo tipo SRA, nustatyta, kad Evrysdi gydytų pacientų motorinė funkcija truputį pagerėjo (vertinta pagal vertinimo skalę, vadinamą MFM32): pagal 100-balę sistemą po 12 mėnesių gydymo lyginant su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos) skirtumas buvo 1,6 balo.

Papildomo tyrimo su 18 naujagimių, kurių amžius gydymo pradžioje buvo iki 6 savaičių, duomenys patvirtina, kad Evrysdi galima skirti kūdikiams, kuriems diagnozuota SRA, bet ligos simptomai dar nepasireiškė. Šeši iš septynių vaikų, kurie mažiausiai 12 mėnesių vartojo Evrysdi, pasiekė tokius rezultatus (pvz., galėjo sėdėti neprilaikomi), kurių paprastai negali pasiekti negydomi vaikai, turintys 2 *SMN2* kopijas.

Kokia rizika susijusi su Evrysdi vartojimu?

Išsamų visų Evrysdi šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Evrysdi šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) karščiavimas, bėrimas ir galvos skausmas.

Kodėl Evrysdi buvo registruotas ES?

Laikytasi nuomonės, kad Evrysdi poveikis 1-ojo, 2-ojo ir 3-ojo tipo SRA sergančių pacientų motorinės funkcijos vystymuisi yra svarbus, ypač atsižvelgiant į ligos sunkumą. 1-ojo tipo SRA – sunkiausios formos liga – sergantiems vaikams Evrysdi po vienerių gydymo metų suteikia galimybę sėdėti be pagalbos daugiau kaip 5 sekundes; be gydymo jiems tai būtų neįmanoma.

Evrysdi taip pat naudingas pacientams, kuriems liga pasireiškė vėliau (2-ojo ir 3-ojo tipo SRA), nors poveikis šiems pacientams yra nedidelis. Laikoma, kad Evrysdi šalutinį poveikį galima tinkamai kontroliuoti. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Evrysdi nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Evrysdi vartojimą?

Evrysdi gaminanti bendrovė pateiks duomenis iš ilgalaikio tyrimo dėl vaisto poveikio pacientams, turintiems iki 4 *SMN2* geno kopijų, palyginti su tuo, kaip liga progresuoja pacientams, kurie nebuvo gydyti Evrysdi.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Evrysdi vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Evrysdi vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Evrysdi šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Evrysdi

Evrysdi buvo registruotas visoje ES 2021 m. kovo 26 d.

Daugiau informacijos apie Evrysdi rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2023-08.