



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Evrysdi (*risdiplāms*)

*Evrysdi* pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

### Kas ir *Evrysdi* un kāpēc tās lieto?

*Evrysdi* ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pacientus ar 5q muguras muskuļu atrofiju (SMA), kas ir ģenētiska slimība, kura izraisa muskuļu, tostarp plaušu muskuļu, vājumu un novājināšanu. Tas paredzēts pacientiem ar 1., 2. vai 3. tipa SMA vai pacientiem, kuriem ir līdz četras gēna, kas pazīstams kā *SMN2*, kopijas.

SMA ir reta slimība, un 2013. gada 26. februārī *Evrysdi* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145).

*Evrysdi* satur aktīvo vielu risdiplāmu.

### Kā lieto *Evrysdi*?

Ārstēšana ar *Evrysdi* ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi SMA ārstēšanā. Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

*Evrysdi* lieto iekšķīgi vienreiz dienā pēc maltītes, aptuveni vienā un tajā pašā laikā katru dienu. Pacientiem, kuri nespēj norīt, var ievadīt *Evrysdi* ar caurules palīdzību caur degunu vai ādu līdz kuņģim.

Papildu informāciju par *Evrysdi* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

### Kā *Evrysdi* darbojas?

SMA pacientiem trūkst proteīna, ko sauc par "izdzīvošanas motoneirona" (SMN) proteīnu, un tas ir nozīmīgs motoneironu (muskuļu kustības kontrolējošo muguras smadzeņu nervu šūnu) normālai darbībai. SMN proteīna ražošanā ir iesaistīti divi gēni — *SMN1* un *SMN2*. SMA pacientiem trūkst *SMN1* gēna, bet ir *SMN2* gēns, kas galvenokārt ražo īsu *SMN* proteīnu, kurš nefunkcionē tikpat labi kā pilna garuma proteīns.

*Evrysdi* aktīvā viela, risdiplāms, ir maza molekula, kas ļauj *SMN2* gēnam ražot pilna garuma proteīnu, kas var normāli darboties. Paredzams, ka tas palielina motoneironu dzīvildzi, tādā veidā mazinot slimības pašreizējos simptomus un palēninot tās progresēšanu.

**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



## Kādi *Evrysdi* ieguvumi atklāti pētījumos?

Divos galvenajos pētījumos pacientiem ar SMA pierādīts, ka *Evrysdi* efektīvi uzlabo motorisko funkciju.

Vienā pētījumā, kurā piedalījās 41 zīdains vecumā no diviem līdz septiņiem mēnešiem ar 1. tipa SMA (vissmagāko veidu), tika pierādīts, ka 29 % (12 no 41) zīdaiņu spēja sēdēt bez atbalsta vairāk nekā 5 sekundes pēc 12 mēnešu ilgas ārstēšanas ar *Evrysdi*. Iepriekšējos novērojumos par zīdaiņiem ar SMA konstatēts, ka viņi nekad nespēj sēdēt bez atbalsta.

Otrajā pētījumā, kurā piedalījās 180 pacienti ar 2. un 3. tipa SMA līdz 25 gadu vecumam, ar *Evrysdi* ārstētajiem pacientiem novēroja nelielu motorikas uzlabojumu (ko mēra, izmantojot novērtējuma skalu MFM32). Pēc 12 ārstēšanas mēnešiem 100 punktu skalā bija 1,6 punktu atšķirība salīdzinājumā ar placebo (fiktīvu ārstēšanu).

Dati no papildu pētījuma, kurā ārstēšanas sākumā piedalījās 18 jaundzimušie bērni vecumā līdz sešām nedēļām, apstiprina *Evrysdi* lietošanu zīdaiņiem, kuriem diagnosticēta SMA, bet vēl nav simptomu. No septiņiem bērniem, kuri saņēma *Evrysdi* vismaz 12 mēnešus, seši sasniedza atskaites punktus (piemēram, sēdēšanu bez atbalsta), kurus neārstēti bērni parasti nevarēja sasniegt ar divām *SMN2* kopijām.

## Kāds risks pastāv, lietojot *Evrysdi*?

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Evrysdi* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir drudzis, izsitumi, caureja un galvassāpes.

## Kāpēc *Evrysdi* ir reģistrētas ES?

*Evrysdi* ietekme uz motoriskās funkcijas attīstību pacientiem ar 1., 2. un 3. tipa SMA tika uzskatīta par būtisku, jo īpaši ņemot vērā slimības smagumu. Bērniem ar 1. tipa SMA, kas ir vissmagākā slimības forma, *Evrysdi* ļauj zīdaiņiem pēc gada ilgas ārstēšanas sēdēt bez atbalsta vairāk nekā piecas sekundes, ko viņi bez ārstēšanas nespētu izdarīt.

*Evrysdi* ir noderīga arī pacientiem ar vēlāku SMA parādīšanos (2. un 3. tips), lai gan iedarbība uz šiem pacientiem ir neliela. *Evrysdi* blakusparādības tiek uzskatītas par kontrolējamām. Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Evrysdi*, pārsniedz tās radīto risku un vakcīnu var reģistrēt lietošanai ES.

## Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Evrysdi* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Evrysdi*, sniegs datus no ilgtermiņa pētījuma par šo zāļu ietekmi pacientiem ar ne vairāk kā četrām *SMN2* gēna kopijām salīdzinājumā ar to, kā slimība progresē pacientiem, kuri nav ārstēti ar *Evrysdi*.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Evrysdi* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Evrysdi* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Evrysdi* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

## **Cita informācija par *Evrysdi***

2021. gada 26. martā *Evrysdi* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Evrysdi* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi).

Šis pārskats pēdējo reizi atjaunināts 2023. gada augustā.