



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplam*)

Ħarsa ġenerali lejn Evrysdi u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Evrysdi u għal xiex jintuża?

Evrysdi huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' pazjenti b'atrofija muskolari tas-sinla (SMA, spinal muscular atrophy) 5q, marda ġenetika li tikkawża dgħufija u ħela tal-muskoli inkluż il-muskoli tal-pulmun. Huwa maħsub għall-pazjenti b'SMA tat-tip 1, tat-tip 2 jew tat-tip 3, jew dawk li għandhom sa 4 kopji ta' gene magħruf bħala *SMN2*.

L-SMA hija rari, u Evrysdi ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fis-26 ta' Frar 2019. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi fih is-sustanza attiva risdiplam.

Kif jintuża Evrysdi?

It-trattament b'Evrysdi għandha tinbeda minn tabib li jkollu esperjenza fl-immaniġġjar tal-SMA. Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib.

Evrysdi jittieħed mill-ħalq darba kuljum wara l-ikel, bejn wieħed u ieħor fl-istess ħin kuljum. F'pazjenti li ma jistgħux jibilgħu, Evrysdi jista' jingħata permezz ta' tubu mill-immieħer jew mill-ġilda sal-istonku.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Evrysdi, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Evrysdi?

Il-pazjenti b'SMA għandhom proteina nieqsa li tissejjaħ proteina ta' "sopravivenza tan-newroni motorji" (SMN, *survival motor neuron*), li hija essenzjali għan-newroni motorji (ċelluli tan-nervituri fis-sinla tad-dahar li jikkontrollaw il-movimenti tal-muskolu) biex ikomplu jaħdmu b'mod normali. Żewġ ġeni, *SMN1* u *SMN2*, huma involuti fil-produzzjoni tal-proteina SMN. Il-pazjenti b'SMA m'għandhomx il-gene *SMN1* iżda għandhom kopja waħda jew aktar tal-gene *SMN2*, li ħafna drabi jipproduċu proteina SMN qasira li ma taħdimx tajjeb daqs il-proteina ta' tul sħiħ.

Is-sustanza attiva f'Evrysdi, ir-risdiplam, hija molekula zġhira li tippermetti li l-gene *SMN2* tipproduċi l-proteina ta' tul sħiħ, li tista' taħdem b'mod normali. Dan huwa mistenni li jżid is-sopravivenza tan-newroni motorji, u b'hekk inaqqas is-sintomi attwali tal-marda u jnaqqas il-progressjoni tagħha.

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



X'inhuma l-benefiċċji ta' Evrysdi li ħarġu mill-istudji?

Intwera li Evrysdi kien effettiv fit-titjib tal-funzjoni motorja f'żewġ studji ewlenin f'pazjenti b'SMA.

Studju wiehed li twettaq fuq 41 tarbija li kellhom bejn xahrejn u seba' xhur b'SMA tat-tip 1 (l-aktar tip sever) wera li 29 % (12 minn 41) tat-trabi setgħu joqogħdu bilqiegħda mingħajr appoġġ għal aktar minn 5 sekondi wara 12-il xahar ta' trattament b'Evrysdi. Osservazzjonijiet li saru fil-passat fuq trabi b'SMA sabu li qatt ma jkunu jistgħu joqogħdu bilqiegħda mingħajr appoġġ.

It-tieni studju fuq 180 pazjent b'SMA tat-tip 2 u tat-tip 3 li ma kellhomx aktar minn 25 sena wera titjib żgħir fil-funzjoni motorja (kif imkejjel bl-użu ta' skala ta' klassifikazzjoni msejha MFM32) fuq pazjenti ttrattati b'Evrysdi: kien hemm differenza ta' 1.6 punti meta mqabbla mal-placebo (trattament fint) fuq skala ta' 100 punt wara 12-il xahar ta' trattament.

Id-*data* minn studju addizzjonali li fih ħadu sehem 18-il tarbija tat-twelid sa 6 ġimgħat fil-bidu tat-trattament tappoġġa l-użu ta' Evrysdi fuq trabi b'dijanjosji ta' SMA iżda li għadhom ma jurux sintomi. Mis-sebat itfal li ngħataw Evrysdi għal tal-inqas 12-il xahar, sitta laħqu stadji importanti (bħal li qagħdu bilqiegħda mingħajr appoġġ) li normalment ma setgħux jintlaħqu minn tfal mhux ittrattati b'2 kopji ta' *SMN2*.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Evrysdi?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet ta' Evrysdi, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Evrysdi (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma deni, raxx, dijarea u wġiġħ ta' ras.

Għaliex Evrysdi ġie awtorizzat fl-UE?

L-effetti ta' Evrysdi fuq l-iżvilupp tal-funzjoni motorja fuq pazjenti b'SMA tat-tipi 1, 2 u 3 kienu kkunsidrati rilevanti, b'mod partikolari meta titqies is-severità tal-marda. Fuq it-tfal b'SMA tat-tip 1, il-forma l-aktar severa tal-marda, Evrysdi jippermetti li t-trabi joqogħdu bilqiegħda mingħajr appoġġ għal aktar minn 5 sekondi wara sena ta' trattament, xi ħaġa li ma setgħux jagħmlu mingħajr trattament.

Evrysdi huwa wkoll ta' benefiċċju fuq pazjenti b'SMA li tibda aktar tard (tipi 2 u 3), għalkemm l-effetti fuq dawn il-pazjenti huma modesti. L-effetti sekondarji b'Evrysdi huma kkunsidrati maniġġabbli. Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Evrysdi huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Evrysdi?

Il-kumpanija li tqiegħed Evrysdi fis-suq se tipprovdi *data* minn studju fit-tul dwar l-effetti tal-mediċina fuq pazjenti li kellhom sa 4 kopji tal-ġene *SMN2* meta mqabbla ma' kif il-marda pprogressat f'pazjenti li ma kinux ġew ittrattati b'Evrysdi.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Evrysdi.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Evrysdi hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrappurtati b'Evrysdi huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Evrysdi

Evrysdi ngħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fis-26 ta' Marzu 2021.

Aktar informazzjoni dwar Evrysdi tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'08-2023.