



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplam*)

Een overzicht van Evrysdi en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Evrysdi en wanneer wordt het voorgeschreven?

Evrysdi is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met 5q spinale spieratrofie (*spinal muscular atrophy* – SMA), een genetische aandoening die verzwakking en wegwijnen van de spieren, inclusief de longspieren, veroorzaakt. Het geneesmiddel is bestemd voor patiënten met SMA type 1, type 2 of type 3 en voor patiënten met maximaal vier kopieën van het gen *SMN2*.

SMA is zeldzaam, en Evrysdi werd op 26 februari 2019 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi bevat de werkzame stof risdiplam.

Hoe wordt Evrysdi gebruikt?

Behandeling met Evrysdi moet worden gestart door arts met ervaring in de behandeling van SMA. Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

Evrysdi wordt eenmaal daags via de mond ingenomen na een maaltijd, elke dag op ongeveer hetzelfde tijdstip. Bij patiënten die niet kunnen slikken, kan Evrysdi worden toegediend via een slang door de neus of de huid naar de maag.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Evrysdi.

Hoe werkt Evrysdi?

Patiënten met SMA hebben een tekort aan een eiwit met de naam 'survival motor neuron' (SMN-eiwit), dat essentieel is voor de normale werking van motorneuronen (zenuwcellen in het ruggenmerg die spierbewegingen aansturen). Twee genen, *SMN1* en *SMN2*, zijn betrokken bij de aanmaak van het SMN-eiwit. Bij patiënten met SMA ontbreekt het *SMN1*-gen, maar zij beschikken wel over één of meer kopieën van het *SMN2*-gen, dat meestal een kort SMN-eiwit aanmaakt dat niet zo goed werkt als een eiwit van volledige lengte.



De werkzame stof in Evrysdi, risdiplam, is een klein molecuul dat het *SMN2*-gen in staat stelt tot de aanmaak van het eiwit met volledige lengte, dat normaal kan werken. Naar verwachting zullen de motorneuronen hierdoor beter kunnen overleven, zodat de bestaande symptomen van de ziekte afnemen en de progressie ervan wordt vertraagd.

Welke voordelen bleek Evrysdi tijdens de studies te hebben?

In twee hoofdstudies onder patiënten met SMA bleek Evrysdi werkzaam te zijn bij het verbeteren van de motorische functies.

In één studie onder 41 zuigelingen in de leeftijd van 2 tot 7 maanden met SMA type 1 (de ernstigste soort) bleek 29 % (12 van de 41) van de patiënten na twaalf maanden behandeling met Evrysdi meer dan vijf seconden zelfstandig te kunnen zitten. Bij eerdere waarnemingen van zuigelingen met SMA werd vastgesteld dat zij nooit in staat waren zelfstandig te zitten.

Een tweede studie onder 180 patiënten tot 25 jaar oud met SMA type 2 of SMA type 3 liet een lichte verbetering van de motorische functies zien (gemeten aan de hand van een beoordelingsschaal genaamd MFM32) bij patiënten die met Evrysdi waren behandeld: na twaalf maanden behandeling was er op een schaal van 1 tot 100 een verschil van 1,6 punten ten opzichte van placebo (een schijnbehandeling).

Een aanvullende studie onder 18 pasgeboren baby's die bij aanvang van de behandeling maximaal 6 weken oud waren, heeft gegevens opgeleverd die het toediening van Evrysdi ondersteunen aan zuigelingen waarbij SMA is vastgesteld maar nog geen symptomen worden waargenomen. Zes van de zeven kinderen die ten minste twaalf maanden lang Evrysdi kregen toegediend, bereikten bepaalde mijlpalen (zoals zelfstandig zitten) die normaal gezien nooit worden waargenomen bij onbehandelde kinderen met twee kopieën van het *SMN2*-gen.

Welke risico's houdt het gebruik van Evrysdi in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Evrysdi.

De meest voorkomende bijwerkingen van Evrysdi (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn koorts, huiduitslag, diarree en hoofdpijn.

Waarom is Evrysdi geregistreerd in de EU?

De effecten van Evrysdi op de ontwikkeling van motorische functies bij patiënten met SMA type 1, 2 en 3 werden relevant geacht, met name gezien de ernst van de ziekte. Jonge kinderen met SMA type 1, de ernstigste vorm van de ziekte, kunnen na een jaar behandeling met Evrysdi meer dan vijf seconden zelfstandig zitten, wat zij zonder behandeling niet zouden kunnen.

Ook patiënten met later optredende SMA (type 2 en 3) hebben baat bij Evrysdi, hoewel de effecten bij deze patiënten bescheiden zijn. De bijwerkingen van Evrysdi worden als beheersbaar beschouwd. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Evrysdi groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Evrysdi te waarborgen?

Het bedrijf dat Evrysdi in de handel brengt, zal gegevens verstrekken van een langetermijnstudie naar de effecten van het geneesmiddel bij patiënten met maximaal vier kopieën van het *SMN2*-gen, vergeleken met de progressie van de ziekte bij patiënten die niet met Evrysdi worden behandeld.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Evrysdi, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Evrysdi continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Evrysdi worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Evrysdi

Op 26 maart 2021 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Evrysdi verleend.

Meer informatie over Evrysdi is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi.

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 08-2023.