



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*rysdyplam*)

Przegląd wiedzy na temat leku Evrysdi i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Evrysdi i w jakim celu się go stosuje

Evrysdi jest lekiem stosowanym do leczenia rdzeniowego zaniku mięśni 5q (SMA), choroby genetycznej powodującej osłabienie i zanik mięśni, w tym mięśni płuc. Lek przeznaczony jest dla pacjentów z SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 albo posiadających do 4 kopii genu znanego jako *SMN2*.

Ze względu na to, że SMA uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 26 lutego 2019 r. lek Evrysdi uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocemu można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Substancją czynną zawartą w leku Evrysdi jest rysdyplam.

Jak stosować lek Evrysdi

Terapię lekiem Evrysdi rozpoczyna lekarz mający doświadczenie w leczeniu SMA. Lek wydawany na receptę.

Lek Evrysdi przyjmuje się doustnie raz na dobę po posiłku, mniej więcej o tej samej porze każdego dnia. U pacjentów, którzy nie są w stanie połykać, lek Evrysdi można podawać przez rurkę przez nos lub skórę do żołądka.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Evrysdi znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Evrysdi

U pacjentów z SMA występuje niedobór białka zwanego białkiem „przeżycia motoneuronów” (ang. survival motor neuron, SMN), które ma zasadnicze znaczenie dla prawidłowego funkcjonowania motoneuronów (komórek nerwowych w rdzeniu kręgowym, które kontrolują ruchy mięśni). Dwa geny – *SMN1* i *SMN2* – uczestniczą w produkcji białka SMN. U pacjentów z SMA nie występuje gen *SMN1*, ale obecna jest co najmniej jedna kopia genu *SMN2* produkującego głównie krótkie białko SMN, które nie działa tak dobrze jak białko o pełnej długości.



Substancja czynna leku Evrysdi, rysdyplam, jest niewielka cząsteczka, która umożliwia genowi *SMN2* wytwarzanie białka o pełnej długości, które może działać prawidłowo. Oczekuje się, że zwiększy to przeżycie motoneuronów, łagodząc w ten sposób obecne objawy choroby i spowalniając jej postęp.

Korzyści ze stosowania leku Evrysdi wykazane w badaniach

Skuteczność leku Evrysdi w poprawie czynności ruchowej wykazano w 2 badaniach głównych z udziałem pacjentów z SMA.

W jednym badaniu przeprowadzonym na 41 niemowlętach w wieku od 2 do 7 miesięcy z SMA typu 1 (najcięższa postać) wykazano, że 29% (12 z 41) niemowląt było w stanie siedzieć bez pomocy przez ponad 5 sekund po 12 miesiącach stosowania leku Evrysdi. Z historycznych obserwacji niemowląt z SMA wynika, że nigdy nie były one w stanie siedzieć samodzielnie.

W drugim badaniu z udziałem 180 pacjentów z SMA typu 2 i typu 3 w wieku do 25 lat wykazano nieznaczną poprawę czynności ruchowych (określaną na podstawie skali oceny zwanej MFM32) u pacjentów przyjmujących lek Evrysdi: po 12 miesiącach leczenia odnotowano 1,6-punktową różnicę na 100-punktowej skali w porównaniu z placebo (leczeniem pozorowanym).

Dane z dodatkowego badania z udziałem 18 noworodków w wieku do 6 tygodni na początku leczenia przemawiają za stosowaniem leku Evrysdi u niemowląt z SMA, ale jeszcze niewykazujących objawów. Spośród siedmiu dzieci, które otrzymywały lek Evrysdi przez co najmniej 12 miesięcy, sześć osiągnęło cele pośrednie (takie jak siedzenie bez pomocy), których normalnie nie można było osiągnąć u nieleczonych dzieci z 2 kopiami *SMN2*.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Evrysdi

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Evrysdi znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Evrysdi (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: gorączka, wysypka, biegunka i ból głowy.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Evrysdi w UE

Wpływ leku Evrysdi na rozwój czynności ruchowych u pacjentów z SMA typu 1, 2 i 3 uznano za istotny, zwłaszcza biorąc pod uwagę ciężki przebieg choroby. W przypadku dzieci z SMA typu 1, najcięższą postacią choroby, lek Evrysdi umożliwia siedzenie bez pomocy przez ponad 5 sekund po roku leczenia, czego dzieci te nie byłyby w stanie wykonać bez leczenia.

Lek Evrysdi korzystnie wpływa również na pacjentów z późniejszym początkiem SMA (typ 2 i 3), choć jego działanie u tych pacjentów jest niewielkie. Działania niepożądane leku Evrysdi uznano za możliwe do kontrolowania. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Evrysdi przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Evrysdi

Firma wprowadzająca do obrotu lek Evrysdi dostarczy dane z długoterminowego badania wpływu leku u pacjentów z maksymalnie 4 kopiami genu *SMN2* w porównaniu z postępowaniem choroby u pacjentów, którzy nie otrzymywali leku Evrysdi.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Evrysdi w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Evrysdi są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Evrysdi są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Evrysdi

Lek Evrysdi otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia marca 2021 r.

Dalsze informacje na temat leku Evrysdi znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi.

Data ostatniej aktualizacji: 08.2022.