



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplam*)

Um resumo sobre Evrysdi e por que está autorizado na UE

O que é Evrysdi e para que é utilizado?

Evrysdi é um medicamento utilizado no tratamento de doentes com atrofia muscular espinhal (AME) 5q, uma doença genética que causa fraqueza e atrofia dos músculos, incluindo dos músculos pulmonares. Destina-se a doentes com AME de tipo 1, 2 ou 3, ou a doentes que tenham até 4 cópias de um gene chamado *SMN2*.

A AME é uma doença rara, e Evrysdi foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 26 de fevereiro de 2019. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi contém a substância ativa risdiplam.

Como se utiliza Evrysdi?

O tratamento com Evrysdi deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento da AME. O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.

Evrysdi é tomado por via oral uma vez por dia, após uma refeição, aproximadamente à mesma hora todos os dias. Nos doentes que não possam engolir, Evrysdi pode ser administrado por meio de um tubo que atravessa o nariz ou a pele até ao estômago.

Para mais informações sobre a utilização de Evrysdi, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Evrysdi?

Os doentes com AME têm falta de uma proteína denominada proteína de sobrevivência dos neurónios motores (SMN — *Survival Motor Neuron*, em inglês), essencial para que os neurónios motores (células nervosas da medula espinhal que controlam o movimento dos músculos) possam funcionar normalmente. Dois genes, o *SMN1* e o *SMN2*, estão envolvidos na produção da proteína SMN. Os doentes com AME apresentam uma deficiência no gene *SMN1*, mas possuem uma ou mais cópias do gene *SMN2*, que produz principalmente uma proteína SMN curta que não funciona tão bem como a proteína de comprimento completo.

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



A substância ativa de Evrysdi, o risdiplam, é uma pequena molécula que permite ao gene *SMN2* produzir a proteína de comprimento completo, que funciona normalmente. Isto leva ao aumento da sobrevivência dos neurónios motores e, desse modo, reduz os sintomas da doença e abranda a sua progressão.

Quais os benefícios demonstrados por Evrysdi durante os estudos?

Evrysdi demonstrou eficácia na melhoria da função motora em dois estudos principais em doentes com AME.

Um estudo realizado em 41 lactentes com AME de tipo 1 (a forma mais grave da doença) com idades entre os dois e os sete meses mostrou que 29 % dos lactentes (12 de um total de 41) conseguiram sentar-se sem apoio durante mais de 5 segundos, após 12 meses de tratamento com Evrysdi. Observações anteriores em lactentes com AME mostraram que estes nunca chegam a poder sentar-se sem apoio.

Um segundo estudo que incluiu 180 doentes com AME de tipo 2 e 3 com até 25 anos de idade mostrou uma ligeira melhoria da função motora (medida por uma escala de classificação designada escala MFM32) nos doentes tratados com Evrysdi, tendo-se observado, nestes doentes, uma diferença de 1,6 pontos comparativamente aos que receberam um placebo (tratamento simulado) numa escala de 100 pontos, após 12 meses de tratamento.

Os dados de um estudo adicional que incluiu 18 recém-nascidos até às 6 semanas de idade no início do tratamento apoiam a utilização de Evrysdi em lactentes diagnosticados com AME mas que ainda não apresentam sintomas. Das sete crianças que receberam Evrysdi durante pelo menos 12 meses, seis atingiram marcos de desenvolvimento (como sentar-se sem apoio) que normalmente não poderiam ser atingidos por crianças não tratadas com 2 cópias de *SMN2*.

Quais são os riscos associados a Evrysdi?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Evrysdi, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Evrysdi (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem febre, erupção cutânea, diarreia e dores de cabeça.

Por que está Evrysdi autorizado na UE?

Os efeitos de Evrysdi no desenvolvimento da função motora em doentes com AME de tipo 1, 2 e 3 foram considerados relevantes, em especial tendo em conta a gravidade da doença. Em crianças com AME de tipo 1, a forma mais grave da doença, Evrysdi permite que os lactentes se sentem sem apoio durante mais de 5 segundos após um ano de tratamento, o que não poderiam fazer sem terem recebido tratamento.

Evrysdi tem também benefícios nos doentes com um início mais tardio da AME (tipos 2 e 3), embora os efeitos nestes doentes sejam modestos. Os efeitos secundários observados com Evrysdi são considerados controláveis. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Evrysdi são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Evrysdi?

A empresa responsável pela comercialização de Evrysdi fornecerá dados de um estudo a longo prazo sobre os efeitos do medicamento em doentes com até 4 cópias do gene *SMN2*, em comparação com a progressão da doença em doentes não tratados com Evrysdi.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Evrysdi.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Evrysdi são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Evrysdi são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Evrysdi

A 26 de março de 2021, Evrysdi recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre Evrysdi no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 08-2023.