



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplam*)

Prezentare generală a Evrysdi și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Evrysdi și pentru ce se utilizează?

Evrysdi este un medicament utilizat pentru tratarea atrofiei musculare spinale 5q (AMS) la pacienți, o boală genetică ce cauzează slăbirea și atrofierea mușchilor, inclusiv a mușchilor pulmonari. Este indicat la pacienții cu AMS de tip 1, de tip 2 sau de tip 3 sau la cei cu până la 4 copii ale unei gene numite *SMN2*.

AMS este rară, iar Evrysdi a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 26 februarie 2019. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi conține substanța activă risdiplam.

Cum se utilizează Evrysdi?

Tratamentul cu Evrysdi trebuie inițiat de un medic cu experiență în tratamentul AMS. Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală.

Evrysdi se administrează pe cale orală, o dată pe zi, după masă, la aproximativ aceeași oră, în fiecare zi. La pacienții care nu pot înghiți, Evrysdi se poate administra cu ajutorul unei sonde (un tub) care trece prin nas sau prin piele și ajunge în stomac.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Evrysdi, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Evrysdi?

La pacienții cu AMS lipsește o proteină numită proteina pentru supraviețuirea neuronului motor (survival motor neuron, SMN), care este esențială pentru ca neuronii motori (celule nervoase din măduva spinării, care controlează mișcările musculare) să continue să funcționeze normal. Două gene, *SMN1* și *SMN2*, sunt implicate în producerea proteinei SMN. La pacienții cu AMS lipsește gena *SMN1*, dar au una sau mai multe copii ale genei *SMN2*, care produce în principal o proteină SMN scurtă, care nu funcționează la fel de bine ca proteina cu lungime completă.

Substanța activă din Evrysdi, risdiplamul, este o moleculă mică care permite genei *SMN2* să producă proteina cu lungime completă, care poate funcționa normal. Se preconizează că acest lucru

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



îmbunătățește supraviețuirea neuronilor motori, reducând astfel simptomele curente ale bolii și încetinind evoluția ei.

Ce beneficii a prezentat Evrysdi pe parcursul studiilor?

Evrysdi s-a dovedit eficace în îmbunătățirea funcției motorii în 2 studii principale pe pacienți cu AMS.

Un studiu efectuat la 41 de sugari cu vârste cuprinse între 2 și 7 luni cu AMS de tip 1 (tipul cel mai sever) a arătat că 29 % (12 din 41) din sugari au putut să stea în șezut fără sprijin mai mult de 5 secunde după 12 luni de tratament cu Evrysdi. Observațiile anterioare cu privire la sugarii cu AMS arătau că aceștia nu pot să stea niciodată în șezut fără sprijin.

Al doilea studiu, efectuat la 180 de pacienți cu AMS de tip 2 și de tip 3, cu vârste de până la 25 de ani, a arătat o ușoară îmbunătățire a funcției motorii (măsurată pe scara de evaluare numită MFM32) la pacienții tratați cu Evrysdi: s-a observat o diferență de 1,6 puncte în comparație cu placebo (un preparat inactiv) pe o scară de 100 de puncte, după 12 luni de tratament.

Datele dintr-un studiu suplimentar, care a cuprins 18 nou-născuți cu vârsta de până la 6 săptămâni la începutul tratamentului, susțin utilizarea Evrysdi la sugarii diagnosticați cu AMS, dar care nu prezintă încă simptome. Din cei șapte copii care au primit Evrysdi timp de cel puțin 12 luni, șase au atins obiectivele de etapă (de exemplu, statul în șezut fără sprijin) care, în mod normal, nu pot fi atinse de copiii netratați cu 2 copii de *SMN2*.

Care sunt riscurile asociate cu Evrysdi?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Evrysdi, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Evrysdi (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt febră, erupții pe piele, diaree și dureri de cap.

De ce a fost autorizat Evrysdi în UE?

Efectele Evrysdi asupra dezvoltării funcției motorii la pacienții cu AMS de tip 1, 2 și 3 au fost considerate relevante, în special ținând cont de severitatea bolii. La copiii cu AMS de tip 1, forma cea mai severă a bolii, Evrysdi permite sugarilor să stea în șezut fără sprijin mai mult de 5 secunde după un an de tratament, ceea ce nu ar putea face fără tratament.

Evrysdi este benefic și la pacienții la care se manifestă mai târziu debutul AMS (de tip 2 și 3), deși la acești pacienți efectele sunt modeste. Reacțiile adverse raportate în asociere cu Evrysdi sunt considerate gestionabile terapeutic. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Evrysdi sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Evrysdi?

Compania care comercializează Evrysdi va furniza date dintr-un studiu de lungă durată privind efectele medicamentului la pacienții cu până la 4 copii ale genei *SMN2*, comparativ cu evoluția bolii la pacienții care nu au fost tratați cu Evrysdi.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Evrysdi, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Evrysdi sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Evrysdi sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Evrysdi

Evrysdi a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 26 martie 2021.

Informații suplimentare cu privire la Evrysdi sunt disponibile pe site-ul agenției:

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

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 08-2023.