



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplam*)

Prehľad o lieku Evrysdi a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Evrysdi a na čo sa používa?

Evrysdi je liek, ktorý sa používa na liečbu pacientov s 5q spinálnou svalovou atrofiou (SMA), genetickým ochorením, ktoré spôsobuje slabosť a úbytok svalov vrátane pľúcnych svalov. Je určený pre pacientov s diagnózou SMA typu 1, typu 2 alebo typu 3 alebo pacientov s až štyrmi kópiami génu nazývaného *SMN2*.

Ochorenie SMA je zriedkavé, a preto bol liek Evrysdi 26. februára 2019 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Liek Evrysdi obsahuje liečivo risdiplam.

Ako sa liek Evrysdi užíva?

Liečbu liekom Evrysdi musí začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou spinálnej svalovej atrofie (SMA). Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Liek Evrysdi sa užíva ústami jedenkrát denne po jedle, každý deň približne v rovnakom čase. Pacientom, ktorí nedokážu prehĺtať, sa môže liek Evrysdi podať pomocou sondy zavedenej cez nos alebo cez kožu do žalúdka.

Viac informácií o užívaní lieku Evrysdi si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

Akým spôsobom liek Evrysdi účinkuje?

Pacienti s diagnózou SMA majú nedostatok proteínu nazývaného „survival motor neuron“ (SMN), ktorý je nevyhnutný na normálne fungovanie motorických neurónov (nervových buniek miechy, ktoré riadia pohyb svalov). Na tvorbe proteínu SMN sa podieľajú dva gény *SMN1* a *SMN2*. Pacienti s diagnózou SMA majú nedostatok génu *SMN1*, ale majú jednu alebo viac kópií génu *SMN2*, ktorý väčšinou vytvára krátky proteín SMN, a ten nefunguje tak dobre ako proteín v plnej dĺžke.

Liečivo lieku Evrysdi, risdiplam, je malá molekula umožňujúca génu *SMN2* vytvárať proteín v plnej dĺžke, ktorý dokáže normálne fungovať. Očakáva sa, že to zvýši mieru prežitia motorických neurónov, čím sa zmiernia existujúce príznaky ochorenia a spomalí sa jeho progresia.

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



Aké prínosy lieku Evrysdi boli preukázané v štúdiách?

V dvoch hlavných štúdiách u pacientov s SMA sa preukázalo, že liek Evrysdi je pri zlepšovaní motorickej funkcie účinný.

Z jednej štúdie, do ktorej bolo zapojených 41 dojčiat vo veku od 2 do 7 mesiacov s diagnózou SMA typu 1 (najzávažnejší typ) vyplynulo, že po 12 mesiacoch liečby liekom Evrysdi bolo 29 % dojčiat (12 zo 41) schopných sedieť bez pomoci dlhšie ako 5 sekúnd. V minulých pozorovaniach dojčiat s diagnózou SMA sa zistilo, že nikdy neboli schopné sedieť bez pomoci.

V druhej štúdií, do ktorej bolo zapojených 180 pacientov s diagnózou SMA typu 2 a 3 vo veku až do 25 rokov sa preukázalo, že motorická funkcia sa (na základe merania pomocou stupnice nazývanej MFM32) u pacientov liečených liekom Evrysdi mierne zlepšila: v porovnaní s placebom (zdanlivým liekom) bol na 100-bodovej stupnici po 12 mesiacoch liečby zaznamenaný rozdiel o 1,6 bodu.

Údaje z dodatočnej štúdie, do ktorej bolo zapojených 18 novonarodených detí vo veku do 6 týždňov na začiatku liečby, podporili používanie lieku Evrysdi u detí, v prípade ktorých sa diagnostikovalo SMA, ale príznaky sa ešte neprejavili. Zo siedmich detí, ktorým sa podával liek Evrysdi najmenej 12 mesiacov, šesť dosiahlo čiastkové ciele (ako je schopnosť sedieť bez pomoci), čo by sa zvyčajne nedosiahlo u neliečených detí s 2 kópiami génu *SMN2*.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Evrysdi?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Evrysdi a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Evrysdi (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) zahŕňajú horúčku, vyrážku, hnačku a bolesť hlavy.

Prečo bol liek Evrysdi povolený v EÚ?

Účinky lieku Evrysdi na rozvoj motorických funkcií u pacientov so spinálnou svalovou atrofiou typu 1, 2 a 3 sa považovali za relevantné, najmä s ohľadom na závažnosť ochorenia. U detí s diagnózou SMA typu 1, čo je najzávažnejšia forma ochorenia, liek Evrysdi umožňuje deťom po jednom roku liečby sedieť bez pomoci počas viac ako 5 sekúnd, čo by bez liečby nedokázali.

Liek Evrysdi je prínosom aj pre pacientov s neskorším rozvojom SMA (typ 2 a 3), hoci účinky u týchto pacientov sú mierne. Vedľajšie účinky pozorované pri používaní lieku Evrysdi sa považujú za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Evrysdi sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Evrysdi?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Evrysdi na trh poskytne údaje z dlhodobej štúdie zameranej na účinky tohto lieku u pacientov s až 4 kópiami génu *SMN2* v porovnaní s progresiou ochorenia u pacientov, ktorí neboli liekom Evrysdi liečení.

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Evrysdi boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o užívaní lieku Evrysdi sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Evrysdi sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Evrysdi

Lieku Evrysdi bolo 26. marca 2021 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Evrysdi sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 8-2023