



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Evrysdi (*risdiplam*)

Pregled zdravila Evrysdi in zakaj je odobreno v EU

### Kaj je zdravilo Evrysdi in za kaj se uporablja?

Evrysdi je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov s 5q spinalno mišično atrofijo (SMA), tj. genetsko boleznijo, ki povzroča šibkost in atrofijo mišic, med drugim tudi dihalnih mišic. Namenjeno je bolnikom s SMA tipa 1, tipa 2 ali tipa 3 in tistim, ki imajo do štiri kopije gena, imenovanega *SMN2*.

Spinalna mišična atrofija (SMA) je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Evrysdi 26. februarja 2019 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145).

Zdravilo Evrysdi vsebuje učinkovino risdiplam.

### Kako se zdravilo Evrysdi uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Evrysdi mora uvesti zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem SMA. Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept.

Zdravilo Evrysdi se jemlje peroralno enkrat na dan po obroku, vsak dan ob približno istem času. Pri bolnikih, ki ne morejo požirati, se zdravilo Evrysdi lahko daje po cevki skozi nos ali kožo do želodca.

Za več informacij glede uporabe zdravila Evrysdi glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

### Kako zdravilo Evrysdi deluje?

Bolnikom s SMA primanjkuje beljakovine, imenovane „beljakovina preživetja motoričnega nevrona“ (SMN), ki je nujna za normalno delovanje motoričnih nevronov (živčnih celic v hrbtenjači, ki nadzorujejo gibanje mišic). V tvorbi beljakovine SMN sta udeležena dva gena, *SMN1* in *SMN2*. Bolnikom s SMA primanjkuje gena *SMN1*, imajo pa eno ali več kopij gena *SMN2*, zato se tvori predvsem kratka beljakovina SMN, ki ne deluje enako dobro kot beljakovina s celotno dolžino.

Učinkovina v zdravilu Evrysdi, risdiplam, je majhna molekula, ki genu *SMN2* omogoča tvorbo beljakovine s celotno dolžino, ki lahko deluje normalno. To naj bi povečalo preživetje motoričnih nevronov in s tem zmanjšalo trenutne simptome bolezni in upočasnilo njeno napredovanje.

---

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Kakšne koristi zdravila Evrysdi so se pokazale v študijah?**

Izboljšanje motorične sposobnosti bolnikov s SMA ob zdravljenju z zdravilom Evrysdi so dokazali v dveh glavnih študijah.

V prvi študiji, opravljeni pri 41 dojenčkih s SMA tipa 1 (najhujši tip), starih od dva do sedem mesecev, so ugotovili, da je lahko po 12 mesecih zdravljenja z zdravilom Evrysdi brez opore dlje kot 5 sekund sedelo 29 % (12 od 41) dojenčkov. Pri predhodnih opazovanjih niso mogli dojenčki s SMA nikoli sedeti brez opore.

V drugi študiji s 180 bolniki s SMA tipa 2 in SMA tipa 3, starimi do 25 let, so pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Evrysdi, ugotovili blago izboljšanje motorične sposobnosti (merjeno z ocenjevalno lestvico MFM 32): razlika v primerjavi s placebom (zdravilom brez učinkovine) na lestvici s 100 točkami po 12 mesecih je znašala 1,6 točke.

Podatki iz dodatne študije, v katero je bilo vključenih 18 novorojenčkov, ki so bili ob začetku zdravljenja stari največ šest tednov, podpirajo uporabo zdravila Evrysdi pri dojenčkih z diagnozo SMA, ki še nimajo simptomov. Od sedmih otrok, ki so zdravilo Evrysdi prejeli vsaj 12 mesecev, jih je šest doseglo mejnike (npr. sedenje brez opore), ki jih nezdravljeni otroci z dvema kopijama gena *SMN2* običajno ne bi mogli doseči.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Evrysdi?**

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Evrysdi glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Evrysdi (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so zvišana telesna temperatura, izpuščaj, driska in glavobol.

## **Zakaj je bilo zdravilo Evrysdi odobreno v EU?**

Učinki zdravila Evrysdi na razvoj motorične sposobnosti pri bolnikih s SMA tipa 1, 2 ali 3 so se šteli za pomembne, zlasti ob upoštevanju resnosti bolezni. Pri otrocih s SMA tipa 1, ki je najresnejša oblika bolezni, zdravilo Evrysdi dojenčkom omogoča, da po letu zdravljenja sedijo brez opore dlje kot 5 sekund, česar ne bi zmogli brez zdravljenja.

Zdravilo Evrysdi je koristno tudi pri bolnikih s SMA, ki se začne pozneje (tipa 2 in 3), vendar so učinkih pri teh bolnikih skromni. Neželeni učinki pri uporabi zdravila Evrysdi se štejejo za obvladljive. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Evrysdi večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Evrysdi?**

Podjetje, ki trži zdravilo Evrysdi, bo zagotovilo podatke iz dolgoročne študije učinkov zdravila pri bolnikih, ki imajo do štiri kopije gena *SMN2*, v primerjavi z napredovanjem bolezni pri bolnikih, ki niso bili zdravljeni s tem zdravilom.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Evrysdi upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Evrysdi stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Evrysdi, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

## **Druge informacije o zdravilu Evrysdi**

Za zdravilo Evrysdi je bilo 26. marca 2021 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Evrysdi so na voljo na spletni strani agencije:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 08-2023.