



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplam*)

Sammanfattning av Evrysdi och varför det är godkänt inom EU

Vad är Evrysdi och vad används det för?

Evrysdi är ett läkemedel som används för att behandla patienter med spinal muskeltrofi av typ 5q (SMA), en genetisk sjukdom som leder till försvagade och förtvinade muskler, inräknat lungmuskulaturen. Det är avsett för patienter med SMA typ 1, typ 2 eller typ 3, eller patienter med upp till fyra kopior av *SMN2*-genen.

SMA är sällsynt och Evrysdi klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 26 februari 2019. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi innehåller den aktiva substansen risdiplam.

Hur används Evrysdi?

Behandling med Evrysdi måste inledas av en läkare med erfarenhet av att behandla SMA. Läkemedlet är receptbelagt.

Evrysdi ska tas genom munnen en gång dagligen efter en måltid, vid ungefär samma tid varje dag. Om patienten inte kan svälja kan Evrysdi ges via en sond genom näsan eller huden till magsäcken.

För mer information om hur du använder Evrysdi, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Evrysdi?

Patienter med SMA saknar ett protein som kallas överlevnadsmotorneuron-protein (SMN-protein, av "survival motor neuron"), som behövs för att motorneuronerna (nervcellerna i ryggmärgen som styr musklernas rörelser) ska fortsätta att fungera normalt. De två generna, *SMN1* och *SMN2*, är inblandade i produktionen av SMN-proteinet. Patienter med SMA saknar *SMN1*-genen men har en eller flera kopior av *SMN2*-genen, som främst producerar ett kort SMN-protein som inte fungerar lika bra som ett fullängdsprotein.

Den aktiva substansen i Evrysdi, risdiplam, är en liten molekyl som gör att *SMN2*-genen kan producera ett fullängdsprotein med normal funktion. Detta förväntas öka överlevnaden hos motorneuroner och därigenom minska de aktuella symtomen på sjukdomen och sakta ner dess progression.

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



Vilka fördelar med Evrysdi har visats i studierna?

Evrysdi har visat sig vara effektivt när det gäller att förbättra motorisk funktion i två huvudstudier på patienter med SMA.

En studie som utfördes på 41 spädbarn i åldern 2–7 månader med SMA typ 1 (den allvarligaste formen) visade att 29 procent (12 av 41) av spädbarnen kunde sitta utan stöd i mer än fem sekunder efter 12 månaders behandling med Evrysdi. Tidigare observationer av spädbarn med SMA visade att de aldrig kunde sitta utan stöd.

I en andra studie på 180 patienter som var upp till 25 år gamla och hade SMA typ 2 och typ 3 sågs en lätt förbättring av den motoriska funktionen (enligt poängskalan MFM32) hos de patienter som behandlades med Evrysdi, nämligen en skillnad på 1,6 poäng jämfört med placebo (overksam behandling) på en 100-gradig poängskala efter 12 månaders behandling.

Data från en kompletterande studie på 18 nyfödda spädbarn som var upp till sex veckor gamla vid behandlingens början stöder användningen av Evrysdi hos spädbarn som diagnostiserats med SMA men som ännu inte uppvisar några symtom. Totalt sex av de sju barn som fick Evrysdi i minst 12 månader uppnådde delmål (t.ex. att sitta utan stöd) som normalt inte kunde uppnås av obehandlade barn med två kopior av *SMN2*.

Vilka är riskerna med Evrysdi?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Evrysdi finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Evrysdi (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är feber, hudutslag, diarré och huvudvärk.

Varför är Evrysdi godkänt i EU?

Effekterna av Evrysdi på utvecklingen av den motoriska funktionen hos patienter med SMA typ 1, 2 och 3 ansågs relevanta, särskilt med tanke på sjukdomens svårighetsgrad. Hos barn med SMA typ 1, den allvarligaste formen av sjukdomen, gör Evrysdi att spädbarn kan sitta utan stöd i mer än fem sekunder efter ett års behandling, vilket de inte skulle ha klarat utan behandling.

Evrysdi är också gynnsamt hos patienter med senare debuterad SMA (typ 2 och 3), även om effekterna på dessa patienter är måttliga. Biverkningarna med Evrysdi anses vara hanterbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Evrysdi är större än riskerna och att Evrysdi kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Evrysdi?

Företaget som marknadsför Evrysdi kommer att lämna in data från en långtidsstudie om läkemedlets effekt på patienter med upp till fyra kopior av *SMN2*-genen jämfört med hur sjukdomen utvecklas hos patienter som inte har behandlats med Evrysdi.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Evrysdi har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Evrysdi kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Evrysdi utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Evrysdi

Den 26 mars 2021 beviljades Evrysdi ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Evrysdi finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 08-2023.