



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Evrysdi (*risdiplam*)

Información general sobre Evrysdi y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Evrysdi y para qué se utiliza?

Evrysdi es un medicamento que se utiliza para tratar la atrofia muscular espinal (AME) 5q, una enfermedad genética que provoca debilidad y deterioro de los músculos, incluso de los músculos de los pulmones. El medicamento está destinado a pacientes con AME Tipo 1, Tipo 2 o Tipo 3, o a pacientes que tienen entre 1 y 4 copias del gen (denominado) SMN2.

La AME es una enfermedad «rara», y Evrysdi fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 26 de febrero de 2019. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi contiene el principio activo risdiplam.

¿Cómo se usa Evrysdi?

El tratamiento con Evrysdi lo debe iniciar y supervisar un médico con experiencia en el tratamiento de la AME. Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.

Evrysdi se administra por vía oral una vez al día después de las comidas y aproximadamente a la misma hora cada día. Si el paciente tiene dificultades para tragarlo, Evrysdi se puede administrar utilizando una sonda, introducida a través de la nariz o de la piel, que llegue al estómago.

Para mayor información sobre el uso de Evrysdi, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Evrysdi?

Los pacientes con AME carecen de una proteína denominada «proteína de supervivencia de la neurona motora» (SMN), que es esencial para que las neuronas motoras (células nerviosas de la médula espinal que controlan los movimientos musculares) puedan sobrevivir y funcionar con normalidad. En la producción de la proteína SMN participan dos genes, el *SMN1* y el *SMN2*. Los pacientes con AME carecen del gen *SMN1*, pero tienen una o más copias del gen *SMN2*, que produce principalmente una proteína SMN corta que no funciona tan bien como una proteína de longitud completa.

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



El principio activo de Evrysdi, el risdiplam, es una pequeña molécula que permite que el gen SMN2 produzca la proteína de longitud completa, que puede funcionar con normalidad. Se espera que esto aumente la supervivencia de las neuronas motoras, reduciendo así los síntomas actuales de la enfermedad y ralentizando su progresión.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Evrysdi en los estudios realizados?

Evrysdi demostró ser eficaz para mejorar la función motora en dos estudios principales realizados en pacientes con AME.

Un estudio realizado en 41 lactantes de 2 a 7 meses con AME Tipo 1 (el más grave) demostró que el 29 % (12 de 41) de ellos eran capaces de sentarse sin ayuda durante más de 5 segundos al cabo de 12 meses de tratamiento con Evrysdi. Según las observaciones que se han llevado a cabo en lactantes con AME, estos nunca pueden quedarse sentados sin apoyo.

Un segundo estudio, en el que participaron 180 pacientes con AME Tipo 2 y Tipo 3 de hasta 25 años, demostró una ligera mejora de la función motora (medida con una escala de calificación denominada MFM32) en los pacientes tratados con Evrysdi: hubo una diferencia de 1,6 puntos en comparación con los tratados con placebo (un tratamiento ficticio) en una escala de 100 puntos al cabo de 12 meses de tratamiento.

Los datos de un estudio adicional en el que participaron 18 recién nacidos de hasta 6 semanas de edad al inicio del tratamiento respaldan el uso de Evrysdi en lactantes a los que se les ha diagnosticado AME pero que aún no presentan síntomas. De los siete niños a los que se administró Evrysdi durante al menos 12 meses, seis alcanzaron hitos (como sentarse sin apoyo) que normalmente no podrían lograr los niños no tratados con 2 copias de *SMN2*.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Evrysdi?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Evrysdi se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Evrysdi (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son fiebre, erupción cutánea, diarrea y dolor de cabeza.

¿Por qué se ha autorizado Evrysdi en la UE?

Los efectos de Evrysdi sobre el desarrollo de la función motora en los pacientes con AME Tipo 1, Tipo 2 y Tipo 3 se consideraron relevantes, especialmente considerando la gravedad de la enfermedad. En los niños con AME Tipo 1, la forma más grave de la enfermedad, Evrysdi permite a los lactantes sentarse sin apoyo durante más de 5 segundos después de un año de tratamiento, algo que no serían capaces de hacer sin tratamiento.

Evrysdi también es beneficioso para los pacientes en los que la enfermedad se manifiesta más tarde (Tipos 2 y 3), aunque los efectos en estos pacientes son más bien modestos. Los efectos adversos observados con Evrysdi se consideran controlables. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Evrysdi son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Evrysdi?

La compañía que comercializa Evrysdi facilitará los datos de un estudio a largo plazo sobre los efectos del medicamento en pacientes con hasta 4 copias del gen SMN2 en comparación con la progresión de la enfermedad en pacientes que no han sido tratados con Evrysdi.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Evrysdi se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Evrysdi se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados de Evrysdi son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Evrysdi

Evrysdi ha recibido una autorización de comercialización válida en toda la UE el 26 de marzo de 2021.

Puede encontrar información adicional sobre Evrysdi en la página web de la Agencia:

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

Fecha de la última actualización del presente resumen: 08-2023.