

Public Summary SwissPAR vom 13.08.2021

Evrysdi® (Wirkstoff: Risdiplam)

Erstzulassung in der Schweiz: 06.05.2021

Arzneimittel (Pulver zur Herstellung einer Lösung zum Einnehmen) zur Behandlung von spinaler Muskelatrophie

Über das Arzneimittel

Evrysdi enthält den Wirkstoff Risdiplam und wird zur Behandlung von Patientinnen und Patienten ab 2 Monaten mit sogenannter 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (SMA) eingesetzt.

Bei spinaler Muskelatrophie handelt es sich um eine genetische Erkrankung mit der man geboren werden kann. Die Erkrankung entsteht durch einen Mangel im Körper an einem Protein mit dem Namen «Überleben des Motoneurons» (Survival of Motor Neuron, SMN). Ist nicht genügend SMN-Protein vorhanden, kommt es zu einem Verlust an motorischen Nervenzellen, was zu Muskelschwäche und Muskelschwund führt. Dabei

können grundlegende Aktivitäten wie zum Beispiel die Kopf- und Halskontrolle und das Sitzen, Krabbeln oder Gehen beeinträchtigt sein. Auch die Atem- und Schluckmuskulatur kann betroffen sein.

Spinale Muskelatrophie wird in verschiedene Schweregrade von Typ I bis IV eingeteilt. Evrysdi wird zur Behandlung von SMA Typen I, II und III eingesetzt.

Da es sich bei dieser Krankheit um eine seltene Krankheit handelt, wurde das Arzneimittel als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet, die spezielle Nachweise erfüllen.

Wirkung

Evrysdi wirkt, indem es dem Körper hilft, mehr des benötigten SMN-Proteins zu bilden. Dadurch wird der Verlust von Nervenzellen bei Patientinnen und Patienten unter-

schiedlichen Alters und mit unterschiedlichen Formen von SMA reduziert, was zur Verbesserung der Kraft und der Funktion der Muskeln führen kann.

Anwendung

Evrysdi ist rezeptpflichtig. Die Evrysdi-Lösung zum Einnehmen muss vor der Abgabe von einer medizinischen Fachperson, wie z. B. Arzt oder Apotheker bzw. Ärztin oder

Apothekerin aus einem Pulver zubereitet werden.

Evrysdi kann entweder über den Mund oder durch eine Ernährungssonde eingenommen/

verabreicht werden. Vor der Einnahme/Verabreichung der ersten Dosis wird durch eine Fachperson genau instruiert, wie die tägliche Dosis vorbereitet und eingenommen/verabreicht werden muss. Evrysdi wird einmal täglich nach einer Mahlzeit eingenommen/verabreicht.

Evrysdi sollte jeden Tag ungefähr zur gleichen Zeit eingenommen/verabreicht werden.

Der Arzt oder die Ärztin ermittelt die passende Tagesdosis von Evrysdi bei Kindern ab

2 Monaten anhand des Alters und des Gewichts des Kindes. Für Jugendliche und Erwachsene beträgt die Tagesdosis von Evrysdi 5 mg (6.6 ml Lösung zum Einnehmen). Zur Abmessung der Dosis sind die wiederverwendbaren beigepackten Spritzen zu verwenden.

Die Sicherheit und Wirksamkeit von Evrysdi bei Kindern unter 2 Monaten sind bisher noch nicht erwiesen.

Wirksamkeit

Die Wirksamkeit von Evrysdi bei der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit SMA seit Geburt und SMA mit späterem Krankheitsbeginn wurde in den beiden Hauptstudien FIREFISH und SUNFISH untersucht. In beiden Studien wurde gezeigt, dass Evrysdi die motorische Funktionsfähigkeit verbessert.

In der Studie FIREFISH wurden 41 Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis 7 Monaten mit SMA Typ I mit Evrysdi behandelt. SMA Typ I ist die schwerste Form von spinaler Muskelatrophie. Es wurde untersucht wie viele Patientinnen und Patienten nach einer 12-monatigen Behandlung mit Evrysdi für mindestens 5 Sekunden ohne Unterstützung sitzen können. Bei 29 % (12 von 41) Patientinnen und Patienten konnte dies gezeigt werden. Frühere Erfahrungswerte zeigen, dass Säuglinge mit SMA Typ I ohne Behandlung zu keinem Zeitpunkt in der Lage waren ohne Unterstützung zu sitzen.

Bei der Studie SUNFISH wurden 180 Patientinnen und Patienten mit SMA Typ II (71 %) oder Typ III (29 %) im Alter von 2 bis 25 Jahren mit Evrysdi oder Placebo (Scheinmedikation) behandelt. Bei den Patientinnen und Patienten, welche mit Evrysdi behandelt wurden, konnte eine Verbesserung der motorischen Funktionsfähigkeit gezeigt werden. Die Messung findet anhand einer 100 Punkte-Beurteilungsskala namens MFM32 statt. Nach einer 12-monatigen Behandlung mit Evrysdi konnte ein Unterschied von 1,6 Punkten gegenüber der Behandlung mit Placebo gezeigt werden. Bei 38 % der mit Evrysdi und 24 % der mit Placebo behandelten Patientinnen und Patienten wurde eine Verbesserung des MFM32-Gesamtscores um 3 oder mehr Punkte beobachtet.

In den Studien wurde eine Wirksamkeit während einer Behandlungszeit von bis zu zwei Jahren nachgewiesen. Für längere Zeiträume als zwei Jahre liegen nur begrenzte Daten vor.

Vorsichtsmassnahmen, unerwünschte Wirkungen & Risiken

Evrysdi darf bei einer Überempfindlichkeit gegenüber dem Wirkstoff oder einem der Hilfsstoffe nicht angewendet werden.

Die häufigsten unerwünschten Wirkungen von Evrysdi sind Durchfall, Hautausschlag und Fieber.

Alle Vorsichtsmassnahmen, Risiken und weitere mögliche unerwünschte Wirkungen sind in der Patientinnen- und Patienteninformation (Packungsbeilage) sowie in der Fachinformation aufgeführt.

Begründung des Zulassungsentscheids

Bei Säuglingen mit SMA kann Evrysdi die Überlebenschancen verbessern und die Fähigkeit zur oralen Nahrungsaufnahme bewahren. Zudem kann Evrysdi die Wahrscheinlichkeit erhöhen, dass wichtige Entwicklungsschritte in der Motorik, sogenannte motorische Meilensteine, erreicht werden und die Notwendigkeit maschineller Beatmungsunterstützung verringern. Bei Kindern (vom Kleinkind bis zum Jugendlichen) und Erwachsenen kann

durch Evrysdi die motorische Funktion im zeitlichen Verlauf aufrechterhalten bzw. verbessert werden.

Unter Berücksichtigung aller vorliegenden Daten überwiegen die Vorteile von Evrysdi die Risiken. Swissmedic hat daher das Arzneimittel Evrysdi mit dem Wirkstoff Risdiplam für die Anwendung in der Schweiz für Patientinnen und Patienten ab 2 Monaten mit 5q-assoziiertes SMA zugelassen.

Weitere Informationen zum Arzneimittel

Information für medizinisches Fachpersonal: [Fachinformation Evrysdi®](#)

Information für Patientinnen und Patienten (Packungsbeilage): [Patientinnen- und Patienteninformation Evrysdi®](#)

Weitere Fragen beantwortet das medizinische Fachpersonal (Arzt/Ärztin, Apotheker/Apothekerin und andere).

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Public Summary SwissPAR ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirkung oder die Sicherheit dieses Medikaments beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.