

Public Summary SwissPAR du 30.03.2023

Evrysdi® (principe actif: risdiplam)

Extension d'indication en Suisse :12.12.2022

Médicament (poudre pour solution buvable) destiné au traitement de l'amyotrophie spinale

À propos du médicament

Evrysdi contient le principe actif risdiplam et est utilisé pour le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA) 5q.

L'amyotrophie spinale est une maladie génétique, parfois présente dès la naissance, causée par le déficit d'une protéine appelée « protéine de survie du motoneurone » (Survival of Motor Neuron, SMN) dans le corps. Le manque de protéine SMN peut provoquer la perte de cellules nerveuses motrices. Cela conduit à une faiblesse et une perte musculaire. Cela peut affecter les mouvements de base tels que contrôler la tête et le cou, s'asseoir, ramper et marcher. Les muscles utilisés pour la respiration et la déglutition peuvent également être touchés.

L'amyotrophie spinale est classée en différents grades de sévérité allant du type I au

type IV. Evrysdi est utilisé pour le traitement de la SMA de type I, II et III.

Le médicament Evrysdi a déjà été autorisé le 06.05.2021 par Swissmedic pour le traitement de patients de 2 mois et plus atteints de SMA 5q. Dans le cadre de l'extension d'indication qui vient d'être accordée, les patients âgés de moins de 2 mois chez lesquels une SMA a été génétiquement confirmée peuvent désormais également être traités avec Evrysdi.

Cette maladie étant une maladie rare et mettant en jeu le pronostic vital, le médicament a été autorisé en tant que médicament orphelin (*Orphan Drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Action

Evrysdi aide le corps à produire davantage de protéine SMN dont il a besoin. Cela permet de réduire la perte de cellules nerveuses,

ce qui peut entraîner une amélioration de la force et du fonctionnement des muscles.

Administration

Evrysdi est soumis à ordonnance. La solution buvable d'Evrysdi doit d'abord être reconstituée à partir d'une poudre par un professionnel de la santé, par exemple un médecin ou un pharmacien.

Evrysdi peut être pris par la bouche ou administré par une sonde d'alimentation. Avant la prise / l'administration de la première dose, un professionnel de la santé doit fournir des instructions sur la façon de préparer et de prendre/administrer la dose quotidienne. Evrysdi est pris/administré une fois par jour après un repas.

Il convient de prendre / d'administrer Evrysdi tous les jours approximativement à la même heure.

Le médecin détermine la dose quotidienne adaptée chez les enfants, en fonction de leur âge et de leur poids. Les seringues réutilisables qui sont fournies dans l'emballage servent à mesurer la dose.

La sécurité d'emploi et l'efficacité d'Evrysdi n'ont pas encore été démontrées chez les nourrissons de moins de 16 jours.

Efficacité

Dans le cadre de la présente extension d'indication pour le traitement des nourrissons de moins de 2 mois avec Evrysdi, les résultats intermédiaires d'une étude encore en cours (RAINBOWFISH) ont été pris en compte. Dans cette étude, un traitement par Evrysdi est instauré chez des enfants entre leur naissance et l'âge de six semaines. Une SMA a été confirmée génétiquement chez des nourrissons sans qu'ils présentent déjà des symptômes de la maladie.

Les données relatives à l'efficacité dont on dispose actuellement portent sur sept nourrissons âgés de 16 à 40 jours auxquels le traitement a été administré pendant 12 mois au moins. D'importantes étapes de la fonction corporelle ont pu être franchies chez ces nourrissons pendant la période d'observation. Les sept sont notamment parvenus à s'asseoir tout seuls, alors que chez les nourrissons atteints de SMA non traités, cette capacité disparaît normalement très rapidement.

Précautions, effets indésirables et risques

Evrysdi ne doit pas être utilisé en cas d'hypersensibilité au principe actif ou à l'un des excipients.

Les effets indésirables les plus fréquents d'Evrysdi sont la diarrhée, les éruptions cutanées et la fièvre.

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Malgré les données cliniques limitées se rapportant au nombre de patients examinés et la durée du traitement, le rapport bénéfice-risque est jugé positif pour l'extension d'indication demandée.

Au vu de toutes les données disponibles, les bénéfices offerts par Evrysdi sont supérieurs aux risques. Par conséquent, Swissmedic a autorisé en Suisse le médicament Evrysdi, dont le principe actif est le risdiplam, pour

une utilisation chez des patients de moins de 2 mois atteints de SMA.

Les données finales de l'étude RAINBOWFISH doivent être présentées à titre de charges pour l'autorisation.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [information professionnelle d'Evrysdi®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [information destinée aux patients d'Evrysdi®](#)

Pour tout renseignement complémentaire, il convient de s'adresser aux personnes exerçant une profession médicale (médecins, pharmaciens et autres).

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le Public Summary SwissPAR.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'action ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.