

Public Summary SwissPAR du 13.08.2021

## Evrysdi® (principe actif : risdiplam)

Première autorisation en Suisse : 06.05.2021

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 chez les patients âgés de 2 mois et plus.

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 protéines 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.

Cette maladie étant une maladie rare, le médicament a été autorisé en tant que médicament orphelin (*Orphan Drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares qui présentent des caractéristiques particulières avérées.

### Action

Evrysdi agit en aidant le corps à produire davantage de protéines SMN. Cela permet de réduire la perte de cellules nerveuses chez

les patients d'âges variés et atteints de différentes formes de SMA, 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 de 2 mois et plus,

en fonction de leur âge et de leur poids. Pour les adolescents et les adultes, la dose quotidienne d'Evrysdi est de 5 mg (6,6 ml de solution buvable). 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 enfants de moins de 2 mois.

---

## Efficacité

---

L'efficacité d'Evrysdi pour le traitement de patients atteints de SMA depuis la naissance ou de début plus tardif a été examinée dans le cadre des deux études principales FIREFISH et SUNFISH. Dans ces deux études, il a été démontré qu'Evrysdi améliore la fonction motrice.

Dans l'étude FIREFISH, 41 patients âgés de 2 à 7 mois ont été traités par Evrysdi pour leur SMA de type I. La SMA de type I est la forme la plus grave de l'amyotrophie spinale. L'étude a évalué combien de patients étaient capables de se tenir assis sans soutien pendant au moins 5 secondes après 12 mois de traitement par Evrysdi. Ce critère a pu être atteint chez 29 % des patients (12 sur 41). L'expérience passée montre que, sans traitement, les nourrissons atteints de SMA de type I n'ont jamais été en mesure de se tenir assis sans soutien.

Dans l'étude SUNFISH, 180 patients atteints de SMA de type II (71 %) ou de type III (29 %), âgés de 2 à 25 ans, ont été traités par Evrysdi ou par un placebo (médicament factice). Une amélioration de la fonction motrice a pu être observée chez les patients ayant reçu Evrysdi. Elle était mesurée sur une échelle d'évaluation de 100 points appelée MFM32. Après un traitement de 12 mois par Evrysdi, une différence de 1,6 point a pu être démontrée par rapport au placebo. Une amélioration de 3 points ou plus au niveau du score total sur l'échelle MFM32 a été observée chez 38 % des patients traités par Evrysdi et chez 24 % des patients recevant le placebo.

Les études ont mis en évidence une efficacité du traitement sur une durée allant jusqu'à deux ans. Il n'existe que des données limitées pour des durées supérieures à deux ans.

---

## 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

---

Chez les nourrissons atteints de SMA, Evrysdi peut améliorer les chances de survie, préserver la capacité de s'alimenter par voie orale, augmenter la probabilité d'atteindre les étapes importantes du développement moteur et réduire la nécessité d'une assistance ventilatoire mécanique. Chez les enfants (des enfants en bas âge aux adolescents) et les adultes, Evrysdi peut

maintenir ou améliorer la fonction motrice au fil du temps.

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 2 mois et plus atteints de SMA 5q.

---

## 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.