

Public Summary SwissPAR del 13.08.2021

Evrysdi® (principio attivo: risdiplam)

Prima omologazione in Svizzera: 06.05.2021

Medicamento (polvere per la preparazione di una soluzione orale) per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale

Informazioni sul medicamento

Evrysdi contiene il principio attivo risdiplam ed è usato per il trattamento della cosiddetta atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti a partire da 2 mesi di età.

L'atrofia muscolare spinale è una malattia genetica che può essere presente sin dalla nascita, causata da una carenza di una proteina chiamata SMN (survival of motor neuron, «fattore di sopravvivenza del motoneurone») nel corpo. La carenza della proteina SMN può causare una perdita di motoneuroni, con conseguente debolezza e deterioramento muscolari che possono compromettere attività fondamentali come il controllo

della testa e del collo, lo stare seduti, il gattonare o il camminare. Anche i muscoli utilizzati per la respirazione e la deglutizione possono indebolirsi.

L'atrofia muscolare spinale viene classificata in base alla gravità dal tipo I al IV. Evrysdi è usato per trattare i tipi di SMA I, II e III.

Poiché si tratta di una malattia rara, il medicamento è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare che soddisfano requisiti specifici.

Modalità d'azione

Evrysdi agisce aiutando il corpo a produrre una quantità maggiore di proteina SMN necessaria. In questo modo si ha una minore perdita di cellule nervose, un aumento della

forza muscolare e un miglioramento della funzionalità muscolare nei pazienti di età diversa e con diverse forme di SMA.

Impiego

Evrysdi è soggetto a prescrizione medica. Prima della dispensazione, la polvere di Evrysdi deve essere ricostituita in una soluzione orale da uno specialista del settore medico, come ad es. un medico o il farmacista.

Evrysdi può essere assunto/somministrato per bocca o attraverso un sondino per gastrostomia. Prima dell'assunzione/della somministrazione della prima dose, uno speciali-

sta deve illustrare le precise modalità di preparazione e assunzione/somministrazione della dose giornaliera prescritta. Evrysdi deve essere assunto/somministrato una volta al giorno dopo un pasto.

Evrysdi deve essere assunto/somministrato ogni giorno all'incirca alla stessa ora.

Nei bambini a partire dai 2 mesi, il medico determina la dose giornaliera di Evrysdi in

base all'età e al peso del bambino. Per adolescenti e adulti, la dose giornaliera di Evrysdi è di 5 mg (6,6 ml di soluzione orale). Per misurare la dose prescritta occorre utilizzare la siringa riutilizzabile presente nella confezione.

La sicurezza e l'efficacia di Evrysdi nei bambini sotto i 2 mesi non sono ancora dimostrate.

Efficacia

L'efficacia di Evrysdi per il trattamento di pazienti con SMA sin dalla nascita e con SMA ad esordio tardivo è stata valutata nei due studi principali FIREFISH e SUNFISH. In entrambi gli studi è stato dimostrato che Evrysdi migliora la funzionalità motoria.

Nello studio FIREFISH sono stati trattati con Evrysdi 41 pazienti tra i 2 e i 7 mesi di età affetti da SMA di tipo I. La SMA di tipo I è la forma più grave di atrofia muscolare spinale. Lo studio si proponeva di accertare quanti pazienti fossero in grado di stare seduti senza supporto per almeno 5 secondi dopo 12 mesi di trattamento con Evrysdi. Questo esito è stato riscontrato nel 29% (12 su 41) dei pazienti. I valori empirici precedenti mostrano che i lattanti affetti da SMA di tipo I senza trattamento non sono mai stati in grado di sedersi senza supporto.

Nello studio SUNFISH sono stati trattati con Evrysdi o placebo (medicamento fittizio) 180 pazienti con SMA di tipo II (71%) o di tipo III (29%) di età compresa tra i 2 e i 25 anni. Nei pazienti trattati con Evrysdi è stato osservato un miglioramento della funzionalità motoria. La misurazione avviene sulla base di una scala di valutazione di 100 punti denominata MFM32. Dopo 12 mesi di trattamento con Evrysdi è stata rilevata una differenza di 1,6 punti rispetto al trattamento con placebo. Un miglioramento di 3 o più punti nel punteggio totale della MFM32 è stato osservato nel 38% dei pazienti trattati con Evrysdi e nel 24% dei pazienti trattati con placebo.

Gli studi hanno dimostrato una efficacia durante un periodo di trattamento fino a due anni. Per quanto concerne periodi superiori ai due anni, sono disponibili solo dati limitati.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Evrysdi non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi sostanza ausiliaria.

Gli effetti indesiderati più comuni di Evrysdi sono diarrea, eruzione cutanea e febbre.

Tutte le precauzioni, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

Motivazione della decisione di omologazione

Nei lattanti con SMA, Evrysdi può migliorare le probabilità di sopravvivenza, preservare la capacità di alimentarsi per bocca; può inoltre aumentare la probabilità di raggiungere im-

portanti fasi dello sviluppo motorio, i cosiddetti traguardi motori, e ridurre la necessità di ventilazione artificiale. Nei bambini (dall'infanzia all'adolescenza) e negli adulti,

Evrysdi può mantenere o migliorare nel tempo la funzionalità motoria.

Tenendo conto di tutti i dati disponibili, i benefici di Evrysdi superano i rischi. Swissmedic

ha pertanto omologato il medicamento Evrysdi con il principio attivo risdiplam per l'uso in Svizzera per i pazienti a partire dai 2 mesi di età affetti da SMA 5q.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per gli operatori sanitari: [informazione professionale di Evrysdi®](#)

Informazione destinata ai pazienti (foglietto illustrativo): [informazione destinata ai pazienti di Evrysdi®](#)

Gli operatori sanitari (medici, farmacisti e altro personale sanitario) sono a disposizione in caso di altre domande.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Public Summary SwissPAR.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita che possa compromettere la qualità, l'effetto o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.