

Public Summary SwissPAR vom 30.03.2023

Evrysdi® (Wirkstoff: Risdiplam)

Indikationserweiterung in der Schweiz: 12.12.2022

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 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.

Das Arzneimittel Evrysdi wurde am 06.05.2021 von Swissmedic bereits zur Behandlung von Patientinnen und Patienten ab 2 Monaten mit 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (SMA) zugelassen. Mit der vorliegenden Indikationserweiterung können nun auch Patientinnen und Patienten unter 2 Monaten, bei denen eine SMA genetisch nachgewiesen wurde, mit Evrysdi behandelt werden.

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

Wirkung

Evrysdi hilft dem Körper, mehr des benötigten SMN-Proteins zu bilden. Dadurch wird der Verlust von Nervenzellen 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 anhand des Alters und des Gewichts des Kindes. Zur Abmessung der Dosis sind die wiederverwendbaren beigegepackten Spritzen zu verwenden.

Die Sicherheit und Wirksamkeit von Evrysdi bei Säuglingen von einem Alter bis 16 Tagen sind bisher noch nicht erwiesen.

Wirksamkeit

Für die vorliegende Indikationserweiterung zur Behandlung von Säuglingen unter 2 Monaten mit Evrysdi wurden die Zwischenergebnisse einer noch laufenden Studie (RAINBOWFISH) berücksichtigt. In dieser Studie wird bei Kindern im Alter zwischen Geburt und 6 Wochen eine Behandlung mit Evrysdi begonnen. Bei den Säuglingen wurde SMA genetisch nachgewiesen, ohne dass sie bereits Symptome der Erkrankung aufweisen.

Die aktuell vorliegenden Wirksamkeitsdaten beziehen sich auf 7 Säuglinge im Alter von 16 bis 40 Tagen, die mindestens 12 Monate lang behandelt wurden. Bei diesen konnten im Beobachtungszeitraum wichtige Meilensteine der Körperfunktion erreicht werden. Unter anderem konnten alle 7 Säuglinge eigenständig sitzen. Bei unbehandelten Säuglingen mit SMA geht diese Fähigkeit normalerweise rasch verloren.

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

Trotz der begrenzten klinischen Daten in Bezug auf die Anzahl der untersuchten Patientinnen und Patienten und der Dauer der Behandlung wird das Nutzen-Risiko-Verhältnis als positiv für die beantragte Indikationserweiterung beurteilt.

Unter Berücksichtigung aller vorliegenden Daten überwiegen die Vorteile von Evrysdi die Risiken. Swissmedic hat daher das Arzneimittel Evrysdi mit dem Wirkstoff Risdipilam für die Anwendung in der Schweiz für

Patientinnen und Patienten mit SMA von unter 2 Monaten zugelassen.

Als Auflage zur Zulassung müssen die abschliessenden Studiendaten von RAINBOW-FISH vorgelegt werden.

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.