

Public Summary SwissPAR del 30.03.2023

Evrysdi® (principio attivo: risdiplam)

Estensione dell'indicazione in Svizzera: 12.12.2022

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 di pazienti affette/i dalla cosiddetta atrofia muscolare spinale (SMA) 5q.

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.

Il medicamento Evrysdi è già stato omologato da Swissmedic il 06.05.2021 per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti a partire da 2 mesi di età. Con la presente estensione dell'indicazione è ora possibile trattare con Evrysdi anche pazienti con meno di 2 mesi di età a cui è stata diagnosticata geneticamente una SMA.

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

Meccanismo d'azione

Evrysdi aiuta il corpo a produrre una quantità maggiore della proteina SMN necessaria. In questo modo si ha una perdita minore di

cellule nervose, il che comporta un aumento della forza muscolare e un miglioramento della funzionalità muscolare.

Impiego

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

Evrysdi può essere assunto/somministrato per bocca o attraverso un sondino per gastrostomia. Prima dell'assunzione/della somministrazione della prima dose, una/uno specialista deve illustrare le precise modalità di preparazione e assunzione/somministra-

zione 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.

La medica o il medico determina la dose giornaliera di Evrysdi in base all'età e al peso della bambina/del bambino. Per misurare la dose prescritta occorre utilizzare la siringa riutilizzabile presente nella confezione.

La sicurezza e l'efficacia di Evrysdi nelle neonate e nei neonati sotto i 16 giorni non sono ancora dimostrate.

Efficacia

Per la presente estensione dell'indicazione riguardante il trattamento di neonate e neonati di età inferiore a 2 mesi con Evrysdi sono stati presi in considerazione i risultati intermedi di uno studio ancora in corso (RAINBOWFISH). In questo studio il trattamento con Evrysdi viene iniziato subito dopo la nascita ed entro le 6 settimane. Alle neonate e ai neonati è stata diagnosticata geneticamente la SMA senza che avessero già manifestato i sintomi della malattia.

I dati di efficacia attualmente disponibili si riferiscono a 7 neonate e neonati di età compresa tra 16 e 40 giorni che sono stati trattati per almeno 12 mesi. Durante il periodo di osservazione sono stati raggiunti importanti traguardi per quanto riguarda le funzioni vitali. Tutte le neonate e tutti i neonati (in totale 7) sono stati in grado, tra l'altro, di sedersi da soli. Normalmente, questa capacità scompare rapidamente nelle neonate e nei neonati affetti da SMA non trattati.

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 misure precauzionali, 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

Nonostante i dati clinici limitati relativi al numero di pazienti esaminate/i e alla durata del trattamento, il rapporto rischi-benefici viene valutato positivamente per l'estensione dell'indicazione richiesta.

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 le/i pazienti sotto i 2 mesi di età affette/i da SMA.

Come condizione per l'omologazione devono essere presentati i dati finali dello studio di RAINBOWFISH.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [Informazione professionale di Evrysdi®](#)

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

Le operatrici e gli operatori sanitari (mediche/medici, farmacisti/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 concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'effetto o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.