



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/148800/2021
EMA/H/C/005145

Evrysdi (*risdiplam*)

Aperçu d'Evrysdi et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Evrysdi et dans quel cas est-il utilisé?

Evrysdi est un médicament utilisé pour traiter des patients à partir de l'âge de deux mois atteints d'amyotrophie spinale (SMA) 5q, une maladie génétique qui provoque une faiblesse et une fonte des muscles, y compris des muscles des poumons. Il est destiné aux patients atteints d'une SMA de type 1, de type 2 ou de type 3, ou à ceux qui présentent jusqu'à quatre copies d'un gène connu sous l'abréviation *SMN2*.

La SMA est rare et Evrysdi a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 26 février 2019. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi contient la substance active risdiplam.

Comment Evrysdi est-il utilisé?

Le traitement par Evrysdi doit être instauré par un médecin expérimenté dans le traitement de la SMA. Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Evrysdi est pris par voie orale une fois par jour après un repas, environ à la même heure chaque jour. Evrysdi peut être administré par une sonde reliant le nez ou la peau à l'estomac chez les patients incapables d'avaler. La dose dépend de l'âge et du poids du patient.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Evrysdi, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Evrysdi agit-il?

Les patients atteints de SMA manquent d'une protéine appelée protéine de «survie des motoneurons» (SMN), qui est essentielle pour permettre aux motoneurons (cellules nerveuses de la moelle épinière qui contrôlent les mouvements musculaires) de continuer à fonctionner normalement. Deux gènes, *SMN1* et *SMN2*, sont impliqués dans la production de la protéine SMN. Les patients atteints de SMA sont dépourvus du gène *SMN1* mais possèdent une ou plusieurs copies du gène *SMN2*, lequel produit

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



principalement une protéine SMN courte qui ne fonctionne pas aussi bien qu'une protéine de pleine longueur.

La substance active d'Evrysdi, le risdiplam, est une petite molécule qui permet au gène *SMN2* de produire la protéine de pleine longueur, laquelle peut fonctionner normalement, ce qui devrait augmenter la survie des motoneurones, réduisant ainsi les symptômes de la maladie alors présents et ralentissant sa progression.

Quels sont les bénéfices d'Evrysdi démontrés au cours des études?

Il a été démontré qu'Evrysdi était efficace pour améliorer la fonction motrice dans le cadre de deux études principales menées auprès de patients atteints de SMA.

Une étude réalisée auprès de 41 nourrissons âgés de deux à sept mois atteints d'une SMA de type 1 (le type le plus grave) indique que 29 % des nourrissons (12 sur 41) étaient capables de s'asseoir sans soutien pendant plus de 5 secondes après 12 mois de traitement par Evrysdi. Des observations antérieures de nourrissons atteints de SMA avaient montré que ceux-ci n'étaient jamais capables de s'asseoir sans soutien.

Une seconde étude menée auprès de 180 patients âgés de 25 ans au maximum et atteints d'une SMA de type 2 ou 3 a montré une légère amélioration de la fonction motrice (mesurée à l'aide d'une échelle de notation appelée MFM32) chez les patients traités par Evrysdi: une différence de 1,6 point sur une échelle de 100 points était observée par rapport à un placebo (un traitement fictif) après 12 mois de traitement.

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Evrysdi?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Evrysdi (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: fièvre, éruption cutanée, diarrhée et maux de tête.

Pour une description complète des effets indésirables observés sous Evrysdi, voir la notice.

Pourquoi Evrysdi est-il autorisé dans l'UE?

Les effets d'Evrysdi sur le développement de la fonction motrice de patients atteints d'une SMA de type 1, 2 ou 3 ont été considérés comme pertinents, compte tenu notamment de la gravité de la maladie. Chez les enfants atteints d'une SMA de type 1, la forme la plus grave de la maladie, Evrysdi permet aux nourrissons de s'asseoir sans soutien pendant plus de cinq secondes après une année de traitement, ce qu'ils seraient incapables de faire sans traitement.

Evrysdi présente également un bénéfice chez les patients atteints d'une SMA d'apparition tardive (types 2 et 3), bien que les effets chez ceux-ci soient modestes. Les effets indésirables observés avec Evrysdi sont considérés comme gérables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Evrysdi sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Evrysdi?

La société qui commercialise Evrysdi fournira des données tirées d'une étude à long terme sur les effets du médicament chez des patients présentant jusqu'à quatre copies du gène *SMN2* par comparaison avec la progression de la maladie chez des patients non traités par Evrysdi.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Evrysdi ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Evrysdi sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Evrysdi sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Evrysdi:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Evrysdi, le 26 mars 2021.

Des informations sur Evrysdi sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 03-2021.