

# Risdiplam

( E v r y s d i )

NO COMERCIALIZADO  
ACTUALMENTE EN  
ESPAÑA



El tercer tratamiento aprobado para la EMA en Europa. Se administra por vía oral y ha sido desarrollado en colaboración con la Fundación SMA y PTC Therapeutics. Va dirigido a aumentar la cantidad de proteína SMN producida por el gen SMN2.

## ¿EN QUÉ CONSISTE RISDIPLAM (EVRYSDI)?

La Atrofia Muscular Espinal es causada por una mutación en el gen SMN1, el encargado de producir la proteína SMN (neurona motora de supervivencia). Esta proteína también es producida en el gen SMN2, pero solamente una pequeña proporción (10 %) de la proteína SMN que produce es totalmente funcional.

Risdiplam, el principio activo de Evrysdi ha demostrado que puede lograr que el gen SMN2 produzca una proteína SMN de longitud completa, que pueda funcionar normalmente. Se espera que aumente la supervivencia de las neuronas motoras y reduzca los síntomas de la enfermedad.

Se administra en forma de jarabe.

## ENSAYOS EN MARCHA

Actualmente hay 4 ensayos en marcha:

**Firefish** para AME tipo 1 en bebés entre 1 y 7 meses

**Sunfish** para AME tipo 2 y 3 en personas entre 2 y 27 años

**Jewelfish** para AME tipo 1, 2 y 3 desde los 6 meses hasta los 60 años que hayan recibido nusinersen o participado en otros ensayos.

**Rainbowfish** para recién nacidos de hasta 6 semanas de edad con un diagnóstico genético de AME que aún no han mostrado síntomas.

Los resultados son todavía muy preliminares. En el congreso de Cure SMA el Dr. Richard Finkel presentó resultados del estudio Rainbowfish, al completar 5 de los 12 primeros niños reclutados el año de tratamiento.

La mayoría de los bebés presintomáticos, que recibieron tratamiento con Risdiplam durante 1 año lograron alcanzar hitos motores de niños sanos, según los parámetros establecido por la Organización Mundial de la Salud.

Comienzan ensayos clínicos:

**Año 2019**

EMA recomienda comercialización:

**Año 2021**

Comercialización en España:

**No actualmente**

Tratamiento indicado para:

**AME 5q tipo 1, 2 y 3**

En tratamiento:

**Bebés, niños, jóvenes y adultos**

Empresa farmacéutica:

**Roche**