

Risdiplam

(E v r y s d i)

COMERCIALIZADO EN
2023 EN ESPAÑA



Comienzan ensayos clínicos:

Año 2019

EMA recomienda comercialización:

Año 2021

Comercialización en España:

Año 2023

Tratamiento indicado para:

AME 5q tipo 1, 2 y 3

En tratamiento:

Bebés a partir de 2 meses, niños, jóvenes y adultos

Empresa farmacéutica:

Roche

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 nursinersen 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.