

Risdiplam

(Evrysdi)

COMERCIALIZADO EN
2023 EN ESPAÑA



Comienzan ensayos clínicos:

Año 2019

EMA recomienda comercialización:

Año 2021

Comercialización en España:

Año 2023

Tratamiento indicado para:

La AME 5q en personas con un diagnóstico clínico de AME tipo I, II o III, o que tengan entre una y cuatro copias del gen SMN2

En tratamiento:

Pacientes pediátricos y adultos

Empresa farmacéutica:

Roche

El tercer tratamiento aprobado para la EMA en Europa y el único administrado por vía oral. 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. Indicado para el tratamiento de la atrofia muscular espinal 5q en adultos y niños con un diagnóstico clínico de AME tipo I, II o III, o que tengan entre una y cuatro copias del gen SMN2*

¿CÓMO FUNCIONA 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, aumentando la supervivencia de las neuronas motoras, reduciendo los síntomas y la progresión de la enfermedad.

Se administra en forma de jarabe.

ENSAYOS EN MARCHA

Los estudios **FIREFISH, SUNFISH, JEWELFISH** y **RAINBOWFISH** han demostrado que el tratamiento con risdiplam en personas con AME produce un aumento sostenido de la proteína SMN funcional, asociado a la mejoría o estabilización de la función motora según el tipo y estadio de la enfermedad.

En FIREFISH, los lactantes con AME tipo I lograron hitos motores relevantes, como la capacidad de sentarse sin apoyo, que no se observa en la historia natural de la enfermedad. SUNFISH evidenció mejoría significativa en la función motora en pacientes con AME tipo II y III, en comparación con placebo. JEWELFISH mostró que risdiplam mantiene niveles elevados de proteína SMN y estabiliza la función motora en pacientes previamente tratados con otras terapias.

RAINBOWFISH demostró que el inicio presintomático del tratamiento con risdiplam podría permitir alcanzar hitos motores de desarrollo semejantes a la mayoría de los lactantes, especialmente en aquellos con mayor número de copias de SMN2.