

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2025_010
Handelsnavn (virkestoff)	Evrysdi (risdiplam)
Virkningsmekanisme	Risdiplam er en modifikator av «survival of motor neuron 2» (SMN2) pre-mRNA-spleising, designet for å behandle spinal muskelatrofi (SMA) forårsaket av mutasjoner i SMN1-genet i kromosom 5q, som fører til SMN-proteinmangel. Risdiplam øker produksjon av funksjonelt og stabilt SMN-protein (1).
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en ny formulering for administrasjon (tabletter) av et kjent virkestoff. Anmoder angir at forventet tidspunkt for opinion hos det Europeiske legemiddelbyrået (EMA) er januar eller mars 2025.
Mulig indikasjon	Behandling av 5q SMA hos pasienter med en klinisk diagnose av type 1, 2 eller 3 SMA eller med 1-4 kopier av SMN2.
Forventet dosering	Den nye administrasjonsformen er tabletter à 5 mg (oral bruk). Daglig administrasjon og langvarig bruk.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Roche AS
Bakgrunn	Fra før er risdiplam innført som mikstur (oral bruk) med styrken 0,75 mg/ml (ID2021_088, ID2023_089). For pasienter ≥ 2 år (≥ 20 kg) er anbefalt daglig dose 5 mg (1). Det er kommet innspill fra norske klinikere, som forteller at den nye formuleringen med tabletter er en ønsket administrasjonsform.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Hvorvidt 5 mg risdiplam i form av tabletter er bioekvivalent til 5 mg risdiplam i form av mikstur vurderes av EMA i MT prosessen. I en tidligere metodevurdering av risdiplam (ID2020_104) er det beregnet at man fra en flaske mikstur à 60 mg får 12 doser à 5 mg (2).
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken. DMP anbefaler at MT-innehaver melder fra når EMAs vurdering foreligger.

Versjonslogg*

Dato	Hva
04.03.2025	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Kilder:

- 1: [Evrysdi, INN-risdiplam](#)
- 2: [id2020_104_risdiplam_evrysdi_-_spinal-muskelatrofi-sma-hos-voksne-_hurtig-metodevurdering_kun-offentlig-version-1.pdf](#)