



Grenzach-Wyhlen, 30. März 2021

## **Erfolgte Zulassung von Risdiplam (Evrysdi®) ▼**

Liebe SMA Community in Deutschland,

im Rahmen unserer laufenden Zusammenarbeit und Ihrem Wunsch folgend, aktuelle Informationen zum klinischen Entwicklungsprogramm für Risdiplam zu erhalten, möchten wir Sie über einen wichtigen Meilenstein informieren. Es freut uns außerordentlich, Ihnen mitteilen zu können, dass die Europäische Kommission (EK) die Zulassung für Evrysdi® (Risdiplam) erteilt hat. Risdiplam ist die erste zu Hause durchführbare Behandlung der spinalen Muskelatrophie (SMA) mit nachgewiesener Wirksamkeit bei Erwachsenen, Jugendlichen, Kindern und Säuglingen ab zwei Monaten. Mit der Zulassung durch die EK steht Risdiplam in Deutschland unverzüglich zur Verfügung

Risdiplam wurde dem beschleunigten Prüfverfahren der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) unterzogen, das für Arzneimittel angeboten wird, die von großem Interesse für die öffentliche Gesundheit sind und als therapeutische Innovation gelten.<sup>1</sup> Die heutige Zulassung bedeutet, dass Risdiplam nun in Europa zur Behandlung der 5q-assoziierten SMA bei Patienten ab einem Alter von 2 Monaten, mit einer klinisch diagnostizierten Typ-1-, Typ-2- oder Typ-3-SMA oder mit einer bis vier Kopien des *SMN2*-Gens zugelassen ist. Die Entscheidung gilt in allen 27 Mitgliedstaaten der Europäischen Union, inklusive Deutschland, sowie in Island, Norwegen und Liechtenstein.

Vor weniger als fünf Jahren wurde der erste Patient in das klinische Entwicklungsprogramm für Risdiplam aufgenommen, das unter Leitung von Roche in Zusammenarbeit mit der SMA Foundation und PTC Therapeutics durchgeführt wird. Dank der Zielstrebigkeit und Entschlossenheit von Mitgliedern der SMA-Community, wie Ihnen, ist es uns gelungen, schnellen Schrittes auf die heutige Ankündigung hinzuarbeiten. Mittlerweile werden mehr als 3.000 Personen in klinischen Studien, in der klinischen Praxis und durch das Härtefallprogramm, das in mehr als 60 Ländern bis zur Zulassung verfügbar ist oder war, mit Risdiplam behandelt.

Die Zulassung durch die EK folgt einer positiven Stellungnahme, die im Februar vom Ausschuss für Humanarzneimittel der EMA (CHMP) ausgesprochen wurde, und basiert auf Daten aus zwei Zulassungsstudien: FIREFISH (bei symptomatischen Säuglingen mit SMA Typ 1 im Alter von 2 bis 7 Monaten) und SUNFISH (bei Personen mit SMA Typ 2 oder 3 im Alter von 2 bis 25 Jahren). In beiden Studien wurden die klinisch bedeutsame Wirksamkeit von Risdiplam und ein günstiges Sicherheitsprofil nachgewiesen.

Risdiplam ist mit der Zulassung in Deutschland grundsätzlich verordnungs- und erstattungsfähig. Ausschlaggebend für die Verordnung eines Arzneimittels sind stets die medizinischen Umstände und Alternativen im Einzelfall, die sorgfältig dokumentiert werden müssen. Mit der Einführung startet auch das offizielle Nutzenbewertungsverfahren durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) und es schließen sich Erstattungsbetragsverhandlungen mit dem Spitzenverband der gesetzlichen Krankenkassen (GKV-SV) an.

**Roche Pharma AG**

Emil-Barell-Straße 1  
D-79639 Grenzach-Wyhlen  
Tel. +49 (0)7624 14-0  
Fax +49 (0)7624 1019

Sitz der Gesellschaft:  
Grenzach-Wyhlen  
Registergericht:  
Freiburg HRB 410096

Aufsichtsratsvorsitzender:  
Dr. Thomas Schinecker  
Vorstand:  
Prof. Dr. Hagen Pfundner

Für Deutschland bedeutet das auch, dass mit der Erteilung der Zulassung und der sofortigen Marktverfügbarkeit nun die rechtlichen Rahmenbedingungen für die Fortführung des Risdiplam Härtefallprogramms nicht mehr gegeben sind. Patienten können nun gemäß Zulassung mit Risdiplam behandelt werden. Die lückenlose Behandlung und ein reibungsloser Übergang in die Routineversorgung sind uns außerordentlich wichtig. Die beteiligten Härtefall-Zentren wurden direkt von Roche kontaktiert und sind über den genauen Ablauf informiert. Patienten im Härtefallprogramm wenden sich bei Fragen am besten direkt an ihren behandelnden Arzt.

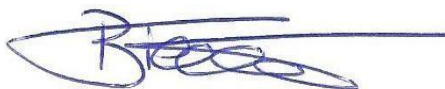
Gleichzeitig zu den Bestrebungen in Deutschland arbeiten wir weltweit mit Hochdruck daran, Patienten und Familien einen breiten und schnellen Zugang zu ermöglichen. In weniger als acht Monaten hat Risdiplam in 38 Ländern rund um den Globus die Zulassung erhalten (in den Vereinigten Staaten, Chile, Brasilien, Ukraine, Südkorea, Georgien, Russland, den Vereinigten Arabischen Emiraten, in den 27 EU-Mitgliedsstaaten sowie in Island, Norwegen und Liechtenstein). In weiteren 33 Ländern streben wir die Marktzulassung an (Argentinien, Australien, Botswana, Bolivien, Kanada, China, Costa Rica, Kolumbien, Ecuador, Großbritannien, Guyana, Indonesien, Israel, Japan, Kuwait, Malaysia, Mauritius, Moldawien, Namibia, Neuseeland, Nordmazedonien, Oman, Pakistan, Paraguay, Peru, Katar, Saudi-Arabien, Schweiz, Südafrika, Singapur, Taiwan, Thailand und in Indien – wo dem ersten Schritt zur Zulassung stattgegeben wurde). In den kommenden Wochen und Monaten planen wir weitere Anträge in mehreren Ländern weltweit.

Wir möchten an dieser Stelle den Hunderten von Patienten und Familien, die an unseren klinischen Studien teilnehmen, sowie den Patientengruppen und den klinischen Studienzentren und deren Mitarbeitern in Deutschland und aller Welt unseren aufrichtigen Dank aussprechen. Wir danken Ihnen für Ihre Partnerschaft, das Vertrauen, das Sie in uns gesetzt haben, und Ihren unablässigen Einsatz für das Erreichen dieses gewaltigen Meilensteins. Heute feiern wir diese Partnerschaft und das, was wir gemeinsam erreicht haben.

Falls Sie weitere Fragen zu dieser Mitteilung haben, können Sie sich gerne an mich wenden. Für Rückfragen von Patienten und deren behandelnder Ärzte, steht Ihnen gerne unsere Medical Information zur Verfügung: [grenzach.medical\\_information@roche.com](mailto:grenzach.medical_information@roche.com), Tel. 07624-142015

Mit freundlichen Grüßen

Roche Pharma AG  
i.V.



Dr. Belinda von Niederhäusern im Namen des SMA-Teams Roche Pharma AG Deutschland  
Senior Patient Partnership Manager Rare Diseases (SMA)

Referenz:

1. <https://www.ema.europa.eu/en/news/fast-track-routes-medicines-address-unmet-medical-needs>, Zugriff 13. März 2021.

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung zu melden. Bitte melden Sie Nebenwirkungen an die Roche Pharma AG unter [grenzach.drug\\_safety@roche.com](mailto:grenzach.drug_safety@roche.com) oder Fax +49 7624/14-3183 oder an das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte unter [www.bfarm.de](http://www.bfarm.de) oder Fax: +49 228/207-5207.