

ANNEXE IIIB

NOTICE : INFORMATION DE L'UTILISATEUR

Dénomination du médicament

RISDIPLAM 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable

Encadré

- **Ce médicament n'ayant pas encore obtenu d'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM), son utilisation est soumise à une Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU) et à une procédure de surveillance étroite par l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé (ANSM), concernant notamment les effets gênants qu'il peut provoquer.**
- **Lisez attentivement cette notice avant de prendre ce médicament pour vous ou votre enfant** : elle contient des informations importantes pour votre traitement.
- **Gardez cette notice, vous pourriez avoir besoin de la relire.**
- Si vous avez des questions, si vous avez un doute, demandez plus d'informations à votre médecin ou à votre pharmacien.
- Ce médicament vous a été personnellement prescrit ou à votre enfant. Ne le donnez pas à d'autres personnes. Il pourrait lui être nocif, même si leurs symptômes sont identiques aux vôtres ou à ceux de votre enfant.
- Si vous ou votre enfant ressentez un des effets indésirables mentionnés comme graves, ou si vous ou votre enfant présentez des effets indésirables non mentionnés dans cette notice, veuillez en informer votre médecin ou votre pharmacien.

Que contient cette notice ?

1. Qu'est-ce que risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable et dans quel cas est-il utilisé?
2. Quelles sont les informations à connaître avant de prendre risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable (pour vous ou votre enfant)?
3. Comment prendre risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable?
4. Quels sont les effets indésirables éventuels?
5. Comment conserver risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable?
6. Contenu de l'emballage et autres informations

1. QU'EST-CE QUE RISDIPLAM 0,75 mg/mL, POUDRE POUR SOLUTION BUVALE ET DANS QUEL CAS EST-IL UTILISÉ ?

Risdiplam est un médicament qui contient la substance active risdiplam.

Dans quel cas risdiplam est-il utilisé ?

Risdiplam est utilisé pour traiter l'amyotrophie spinale (SMA), une maladie génétique, quand les traitements qui ont une AMM ne sont pas efficaces, ne peuvent pas être tolérés, ou ne peuvent pas être administrés, et après un avis émis lors d'une Réunion de Concertation Pluridisciplinaire (RCP) nationale (pédiatrique ou adulte) de la filière Filnemus. Il peut être utilisé chez les patients à partir de l'âge de 2 mois.

Qu'est-ce que l'amyotrophie spinale ?

La SMA est causée par le déficit d'une protéine appelée protéine de survie du motoneurone (SMN) dans le corps. Le manque de protéine SMN peut provoquer chez vous ou votre enfant la perte de motoneurons, qui sont des cellules nerveuses qui contrôlent les muscles. Cela conduit à une faiblesse et une perte musculaire, qui peut affecter les mouvements quotidiens tels que contrôler la tête et le cou, s'asseoir, ramper et marcher. Les muscles utilisés pour la respiration et la déglutition peuvent également devenir plus faibles.

Comment fonctionne risdiplam ?

Risdiplam, la substance active dans risdiplam, agit en aidant le corps à produire davantage de protéines SMN. Cela signifie que moins de motoneurons sont perdus, ce qui pourrait améliorer le bon fonctionnement des muscles chez les personnes atteintes de SMA.

Chez les nourrissons atteints de SMA de Type 1 traités dans les essais cliniques durant 1 an, risdiplam a aidé à :

- augmenter leur durée de vie et réduire le besoin d'un ventilateur pour aider à respirer, comparé à des nourrissons non traités atteints de SMA (il serait attendu que seuls 25 % des nourrissons non traités soient en vie sans avoir besoin d'une ventilation permanente au-delà de l'âge de 14 mois, comparé à 85 % des patients après 1 an de traitement avec risdiplam),
- maintenir la capacité à être nourris par la bouche chez 83 % des patients.

Chez les enfants (des nourrissons aux adolescents) et les adultes atteints de SMA de Type 2 et 3, risdiplam peut maintenir ou améliorer le contrôle des muscles.

2. QUELLES SONT LES INFORMATIONS A CONNAITRE AVANT DE PRENDRE RISDIPLAM 0,75 mg/mL, POUDRE POUR SOLUTION BUVABLE (POUR VOUS OU VOTRE ENFANT)?

Ne prenez jamais risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable dans les cas suivants :

- si vous ou votre enfant êtes allergique au risdiplam ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament (mentionnés dans la rubrique 6).

En cas de doute, consultez votre médecin ou pharmacien avant que vous ou votre enfant ne preniez risdiplam.

Avertissements et précautions

Adressez-vous à votre médecin, infirmier/ère ou pharmacien avant que vous ou votre enfant ne preniez risdiplam.

Le traitement par risdiplam peut nuire à votre bébé à naître ou à la fertilité masculine. Voir « **Grossesse, contraception, allaitement et fertilité masculine** » pour plus d'informations.

Prise d'autres médicaments et risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable :

Informez votre médecin ou pharmacien si vous ou votre enfant prenez, avez récemment pris ou pourriez prendre tout autre médicament dans l'avenir.

En particulier, parlez-en à votre médecin, pharmacien ou infirmier/ère si vous avez pris ou avez précédemment reçu un des médicaments suivants :

- metformine – un médicament utilisé pour traiter les diabètes de type II
- les médicaments pour le traitement de la SMA

Grossesse, contraception, allaitement et fertilité masculine

Grossesse

- Ne prenez pas risdiplam si vous êtes enceinte, car prendre ce médicament pendant votre grossesse pourrait nuire à votre bébé à naître.
- Avant de commencer le traitement par risdiplam, votre médecin doit faire un test de grossesse, car risdiplam peut nuire à votre bébé à naître.
- Si vous devenez enceinte pendant votre traitement par risdiplam, parlez-en immédiatement à votre médecin. Vous et votre médecin déciderez de ce qui est le mieux pour vous et votre bébé à naître.

Contraception

Pour les femmes

Ne devenez pas enceinte :

- pendant votre traitement avec risdiplam et
- pendant un mois après avoir arrêté de prendre risdiplam.

Discutez avec votre médecin des méthodes contraceptives fiables que vous et votre partenaire devez utiliser pendant le traitement et pendant un mois après l'arrêt du traitement.

Pour les hommes

Si votre partenaire féminine est en âge de procréer, vous devez éviter une grossesse. Utilisez des préservatifs pendant votre traitement avec risdiplam et continuez à les utiliser pendant 4 mois après la fin du traitement.

Allaitement

N'allaitez pas pendant que vous prenez ce médicament. En effet, risdiplam peut passer dans le lait maternel et peut donc nuire à votre bébé.

Parlez-en à votre médecin si vous devez arrêter d'allaiter ou si vous devez arrêter de prendre risdiplam.

Fertilité masculine

Sur la base des conclusions tirées chez les animaux, risdiplam peut réduire la fertilité masculine pendant le traitement et jusqu'à 4 mois après votre dernière dose. Si vous prévoyez d'avoir un enfant, demandez conseil à votre médecin.

Ne faites pas de dons de sperme pendant votre traitement et pendant 4 mois après votre dernière dose de risdiplam.

Aptitude à conduire des véhicules et à utiliser des machines

Il est peu probable que risdiplam affecte votre capacité à conduire et à utiliser des machines.

Informations importantes concernant certains composants de risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable.

Risdiplam contient du sodium

Risdiplam contient une petite quantité de sodium (sel) - il y a moins de 1 mmol (23 mg) de sodium même à la dose quotidienne la plus élevée de 5 mg (6,6 mL de solution buvable à 0,75 mg/mL). Cela signifie qu'il est essentiellement « sans sodium » et qu'il peut être utilisé par les personnes qui suivent un régime pauvre en sodium.

Risdiplam contient 0,375 mg de benzoate de sodium par mL. Le benzoate de sodium peut accroître le risque d'ictère (jaunissement de la peau et des yeux) chez les nouveau-nés (jusqu'à 4 semaines).

Risdiplam contient de l'isomalt

Risdiplam contient 2,97 mg d'isomalt par mL. Si votre médecin vous a informé(e) d'une intolérance à certains sucres, contactez-le avant de prendre ce médicament.

3. COMMENT PRENDRE RISDIPLAM 0,75 mg/mL, POUVRE POUR SOLUTION BUVABLE ?

Veillez à toujours prendre ce médicament en suivant exactement les indications de votre médecin ou pharmacien. Vérifiez auprès de votre médecin ou pharmacien en cas de doute. Vous devez recevoir risdiplam sous forme de liquide dans un flacon. Ne pas utiliser si le médicament dans le flacon est une poudre et contacter votre pharmacien.

Vous devez également lire et suivre attentivement le document d'« Instructions d'utilisation destinées aux patients et aidants » ci-joint sur la façon de prendre ou d'administrer risdiplam.

Quelle quantité de risdiplam prendre ?

Adolescents et adultes : La dose quotidienne de risdiplam est de 5 mg (6,6 mL de la solution buvable).

Nourrissons et enfants : Votre médecin choisira la bonne dose de risdiplam en fonction de l'âge et du poids de votre enfant.

Vous ou votre enfant devez prendre votre dose quotidienne selon les consignes de votre médecin. Ne changez pas la dose sans en parler avec votre médecin.

Quand et comment prendre risdiplam ?

- Risdiplam est un liquide qui est préparé par le pharmacien, appelé « solution » ou « médicament » dans cette notice.
- Prenez risdiplam une fois par jour après un repas, environ au même moment chaque jour. Cela vous aidera à vous rappeler quand prendre votre médicament.
- Boire de l'eau après avoir pris le médicament. Ne pas mélanger le médicament avec du lait ou du lait maternisé.

- Prenez ou administrez risdiplam immédiatement après l'avoir prélevé dans la seringue orale. S'il n'est pas pris dans les 5 minutes, jetez le médicament de la seringue orale, et prélevez une nouvelle dose.
- Si risdiplam entre en contact avec votre peau ou celle de votre enfant, lavez cette zone avec du savon et de l'eau.

Lire le document d'« Instructions d'utilisation destinées aux patients et aidants »

Vous recevrez un document d'« Instructions d'utilisation destinées aux patients et aidants ». Celui-ci vous indique la façon de prélever votre dose en utilisant la seringue orale réutilisable qui vous est fournie. Vous (ou votre enfant) pourrez prendre le médicament :

- par la bouche, ou
- avec une sonde de gastrostomie, ou
- avec une sonde naso-gastrique,

Pendant combien de temps faut-il prendre risdiplam ?

Votre médecin vous indiquera pendant combien de temps vous ou votre enfant avez besoin de prendre risdiplam. N'arrêtez pas le traitement avec risdiplam à moins que votre médecin ne vous le demande.

Si vous ou votre enfant avez pris plus de risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable que vous n'auriez dû :

- Si vous ou votre enfant avez pris plus de risdiplam que vous n'auriez dû, parlez en immédiatement à un médecin ou allez immédiatement à l'hôpital. Emportez la boîte de médicament et cette notice avec vous.

Si vous ou votre enfant oubliez de prendre risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable ou vomissez après une dose

- Si moins de 6 heures se sont écoulées après le moment de prise prévu de risdiplam, vous ou votre enfant devez prendre la dose oubliée dès que vous vous apercevez de l'oubli.
- Si plus de 6 heures se sont écoulées après le moment de prise prévu de risdiplam, vous ou votre enfant devez sauter la dose oubliée et ensuite prendre la dose suivante au moment programmé le jour suivant. Ne prenez pas de dose double pour compenser la dose que vous avez oubliée de prendre.
- Si vous ou votre enfant vomissez après avoir pris une dose de risdiplam, ne prenez pas de dose supplémentaire. A la place, prenez la prochaine dose au moment habituel prévu le jour suivant.

Si vous renversez risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable

Si vous renversez risdiplam, sécher la zone avec un essuie-tout et puis nettoyer la surface avec du savon et de l'eau. Jeter l'essuie-tout à la poubelle et se laver soigneusement les mains avec du savon et de l'eau.

4. QUELS SONT LES EFFETS INDESIRABLES EVENTUELS ?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Très fréquent : peut toucher plus d'une personne sur 10

- diarrhée
- éruption cutanée
- maux de tête
- fièvre

Fréquent : peut toucher jusqu'à une personne sur 10

- nausées
- aphtes
- infection urinaire
- douleur articulaire

Si vous ou votre enfant ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin ou votre pharmacien. Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans cette notice. Vous pouvez également déclarer :

- les effets indésirables que vous-même ou votre entourage, suspectez d'être liés à l'utilisation d'un ou plusieurs médicaments, y compris lors de la grossesse ou de l'allaitement,
- les cas d'abus, de mésusage, de pharmacodépendance, d'erreurs médicamenteuses et de surdosages.

Comment déclarer ?

Le plus tôt possible, après la survenue du ou des effets indésirables sur le site de l'ANSM, www.ansm.sante.fr, rubrique Déclarer un effet indésirable ou directement sur le site signalement-sante.gouv.fr.

5. COMMENT CONSERVER RISDIPLAM 0,75 mg/mL, POUDRE POUR SOLUTION BUVABLE ?

- Tenir ce médicament hors de la vue et de la portée des enfants.
- La solution buvable est stable pendant 64 jours après que le pharmacien l'a préparée. Le pharmacien inscrira la date de péremption sur l'étiquette du flacon et sur la boîte d'origine après « Ne plus utiliser après ». Ne pas utiliser la solution au-delà de la date indiquée après la date « Ne plus utiliser après ».
- Conserver la solution buvable au réfrigérateur (entre 2 °C et 8 °C).
- Conserver le médicament dans le flacon d'origine pour le protéger de la lumière.
- Garder le flacon de médicament en position verticale (à l'endroit) avec le bouchon hermétiquement fermé.
- Une fois le médicament prélevé dans la seringue orale, utiliser immédiatement risdiplam. Ne pas conserver la solution de risdiplam dans la seringue.

Ne jetez aucun médicament au tout-à-l'égout ou avec les ordures ménagères. Demandez à votre pharmacien d'éliminer les médicaments que vous n'utilisez plus. Ces mesures contribueront à protéger l'environnement.

6. CONTENU DE L'EMBALLAGE ET AUTRES INFORMATIONS

Ce que contient risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable

- La substance active contenue dans la solution buvable est risdiplam.
- Chaque mL de la solution buvable contient 0,75 mg de risdiplam.
- Les autres composants sont le mannitol (E 421), l'isomalt (E 953), l'arôme fraise, l'acide tartrique (E 334), le benzoate de sodium (E 211), le macrogol/polyéthylène glycol 6 000, le sucralose, l'acide ascorbique (E 300), l'édétate disodique dihydraté.

Comment se présente risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable et contenu de l'emballage extérieur

- Poudre pour solution buvable, qui est délivrée comme une solution buvable après préparation par le pharmacien.
- La solution est jaune-verdâtre à jaune au goût de fraise, le volume de la solution est de 80 mL.

Chaque boîte contient un flacon. Un kit d'administration, contenant des seringues orales ambrées réutilisables de 6 mL (+ bouchons) ou des seringues orales ambrées réutilisables de 12 mL (+ bouchons) avec un marquage pour vous aider à prélever la bonne dose, suffisantes pour couvrir 2 mois d'administration de risdiplam, sera fourni en plus de la boîte contenant le flacon. Un sac isotherme sera également fourni afin d'assurer la bonne conservation du produit lors du transport.

Titulaire de l'autorisation temporaire d'utilisation

ROCHE

4 Cours de l'Île Seguin,
92650 Boulogne-Billancourt Cedex, France

Exploitant de l'autorisation temporaire d'utilisation

ROCHE

4 Cours de l'Île Seguin,
92650 Boulogne-Billancourt Cedex, France

Fabricant

ROCHE

4 Cours de l'Île Seguin,
92650 Boulogne-Billancourt Cedex, France

La dernière date à laquelle cette notice a été approuvée est

Autres

Des informations détaillées sur ce médicament sont disponibles sur le site Internet de l'ANSM