































































































aan een interferentie van risdiplam met de celcyclus van zich delende cellen. Risdiplam kan het DNA niet direct beschadigen.

Reproductietoxiciteit : In onderzoeken met drachtige ratten die behandeld werden met risdiplam was duidelijk sprake van embryo-foetale toxiciteit met een lager foetaal gewicht en vertraagde ontwikkeling. Het NOAEL voor dit effect lag ongeveer 2 keer hoger dan de blootstellingsniveaus die bereikt werden bij de therapeutische dosis risdiplam bij patiënten. Tijdens onderzoeken met drachtige konijnen werden dysmorfogene effecten gezien bij blootstellingen die ook gepaard gaan met maternale toxiciteit. Dit waren vier foetussen (4%) uit 4 worpen (22%) met hydrocefalie. Het NOAEL lag ongeveer 4 keer hoger dan de blootstellingsniveaus die bereikt werden bij de therapeutische dosis risdiplam bij patiënten. Tijdens een pre- en postnataal ontwikkelingsonderzoek met ratten die dagelijks met risdiplam werden behandeld, zorgde risdiplam voor een lichte verlenging van de zwangerschapsduur. Onderzoeken met drachtige en zogende ratten toonden aan dat risdiplam de placentabarière passeert en wordt uitgescheiden in moedermelk.

Carcinogeniteit : Er loopt momenteel een twee jaar durend onderzoek naar carcinogeniteit bij ratten. Een onderzoek bij transgene rasH2-muizen met een behandelduur van 6 maanden liet geen bewijs zien van tumorverwekkend potentieel.

Onderzoek met jonge dieren : Gegevens uit dieronderzoek met jonge dieren leverden geen bewijs op voor een speciaal risico voor de mens.