



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/126572/2026
EMA/H/C/006498

Itvisma (*onasemnogene abeparvovec*)

Общ преглед на Itvisma на разбираем език и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Itvisma и за какво се използва?

Itvisma е лекарство за генна терапия за лечение на спинална мускулна атрофия (СМА) — сериозно заболяване на нервните клетки (неврони), което причинява мускулно изтощение и слабост при хора на възраст над 2 години с наследствени мутации (промения) в гена SMN1.

СМА се счита за рядко заболяване и Itvisma е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 19 юни 2015 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma съдържа активното вещество онасемноген абепарвовек (*onasemnogene abeparvovec*).

Как се използва Itvisma?

Itvisma се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато, прилагано и наблюдавано от лекар с опит в лечението на СМА.

Предлага се под формата на инжекционен разтвор. Прилага се само веднъж чрез интратекална инжекция (в долната част на гърба, директно в течността около гръбначния мозък) в болнична среда от лекар с опит в провеждането на тази процедура. Може да се наложи пациентите да бъдат седирни (да им се даде лекарство за успокояване), преди прилагане на Itvisma.

Също така пациентите ще получат преднизолон (или друг кортикостероид) през устата 24 часа преди приема на Itvisma. Ежедневното лечение с кортикостероиди продължава около 2 месеца след дозата на Itvisma или докато нивата на чернодробните ензими на пациента намалеят до приемливо ниво. Лекарят бавно намалява дозата на кортикостероидите до пълното им спиране.

За повече информация относно употребата на Itvisma вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Как действа Itvisma?

Пациентите със СМА имат дефект в ген, наречен SMN1, от който организъмът се нуждае, за да произвежда протеин, който е от съществено значение за оцеляването и нормалното функциониране на по-ниските моторни неврони — нервните клетки от гръбначния мозък, които контролират мускулните движения. Активното вещество в Itvisma, онасемноген абепарвовек, съдържа функционално копие на този ген. При инжектиране той преминава в моторните неврони, откъдето осигурява правилния ген за производство на достатъчно количество от протеина и по този начин подобрява двигателната функция.

Какви ползи от Itvisma са установени в проучванията?

Основно проучване, обхващащо 126 деца със СМА на възраст от 2 до по-малко от 18 години, които не са лекувани преди това с други лекарства за СМА и които могат да седят, но никога не са могли да вървят самостоятелно, показва, че Itvisma е ефективен за подобряване на двигателната функция в сравнение с плацебо (псевдоинжекция).

Основната мярка за ефективност е промяната в двигателната функция, оценена със скала, наречена HFMSE (функционална двигателна скала Hammersmith — разширена) 1 година след приема на Itvisma. Промяната в скоростта по HFMSE е 2,4 при пациентите, приемащи Itvisma, в сравнение с 0,5 при пациентите, приемащи плацебо. Това показва подобрение на двигателните способности, например промяна на стойката или преместване на ръцете, при лекуваните пациенти след една година.

Проучванията, проведени с Itvisma, са описани по-подробно в доклада за оценка на лекарството.

Какви са нежеланите реакции и ограниченията при Itvisma?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Itvisma вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Itvisma (може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват инфекция на горните дихателни пътища (инфекция на носа и гърлото), повишена температура, повръщане и главоболие. Други чести нежелани реакции (може да засегнат не повече от 1 на 10 души) са повишени нива на чернодробните ензими.

Някои нежелани реакции могат да бъдат сериозни. Най-честите (може да засегнат не повече от 1 на 10 души) включват повръщане, повишени нива на чернодробни ензими, главоболие и повишена температура.

Защо Itvisma е разрешен за употреба в ЕС?

Показано е, че Itvisma води до клинично значими подобрения в двигателната функция при пациенти на възраст 2 и повече години (деца, юноши и възрастни) със СМА. Нежеланите реакции са подобни на тези при друго лекарство, съдържащо същото активно вещество, и се считат за управляеми. Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Itvisma са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Itvisma?

Фирмата, която предлага Itvisma, ще предостави обучителни материали на медицинските специалисти, пациентите и лицата, полагащи грижи, с информация за СМА, как да се използва лекарството безопасно, рисковете, свързани с лекарството, и как да се идентифицират и докладват нежелани реакции.

Тези материали може да бъдат предоставени от националните компетентни органи на техните уебсайтове. Списък на националните хранилища на данни е достъпен на [уебсайта на ЕМА](#).

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Itvisma, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Itvisma непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Itvisma, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Itvisma:

Itvisma получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на.

Допълнителна информация за Itvisma, включително листовката и докладът за оценка, има на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

За да разберете дали лекарството се предлага във вашата държава, се свържете с [националния компетентен орган](#).