



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogen abeparvovek*)

Přehled pro přípravek Itvisma ve srozumitelném jazyce a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Itvisma a k čemu se používá?

Itvisma je léčivý přípravek pro genovou terapii k léčbě spinální svalové atrofie, což je závažné onemocnění nervových buněk (neuronů), které způsobuje úbytek svalstva a svalovou slabost u osob ve věku od 2 let s dědičnými mutacemi (změnami) v genu SMN1.

Spinální svalová atrofie je vzácné onemocnění a přípravek Itvisma byl označen dne 19. června 2015 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Přípravek Itvisma obsahuje léčivou látku onasemnogen abeparvovek.

Jak se přípravek Itvisma používá?

Výdej přípravku Itvisma je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a vést lékař, který má zkušenosti s léčbou spinální svalové atrofie.

Přípravek je k dispozici ve formě injekčního roztoku. Podává se pouze jednou formou intratekální injekce (do dolní části zad, přímo do tekutiny obklopující míchu) v nemocničním prostředí lékařem se zkušenostmi s prováděním tohoto zákroku. Před podáním přípravku Itvisma může být u pacientů nutné provést sedaci (podání léčivého přípravku ke zklidnění pacienta).

Pacientům se také 24 hodin před aplikací přípravku Itvisma podává prednisolon (nebo jiný kortikosteroid) k užití ústy. Každodenní léčba kortikosteroidy bude trvat přibližně 2 měsíce po podání dávky přípravku Itvisma, nebo dokud hladina jaterních enzymů u pacienta neklesne na přijatelnou úroveň. Lékař bude dávku kortikosteroidů postupně snižovat až do jejího úplného ukončení.

Více informací o používání přípravku Itvisma naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Itvisma působí?

Pacienti se spinální svalovou atrofií vykazují poruchu v genu zvaném SMN1, který tělo potřebuje k tvorbě bílkoviny nezbytné pro přežití a normální fungování dolních motorických neuronů, nervových

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



buněk z míchy, které řídí pohyby svalů. Léčivá látka v přípravku Itvisma, onasemnogen abeparvovek, obsahuje funkční kopii tohoto genu. Při injekčním podání tato látka přechází do motorických neuronů, kde poskytuje správný gen pro vytváření dostatečného množství bílkoviny, čímž zlepšuje motorickou funkci.

Jaké přínosy přípravku Itvisma byly prokázány v průběhu studií?

Hlavní studie, do které bylo zařazeno 126 dětí se spinální svalovou atrofií ve věku od 2 do méně než 18 let, které dosud nebyly léčeny jinými léčivými přípravky na spinální svalovou atrofií a které byly schopny sedět, ale nikdy nebyly schopny samostatně chodit, prokázala, že přípravek Itvisma je v porovnání s placebem (předstíranou injekcí) účinný při zlepšování motorických funkcí.

Hlavním měřítkem účinnosti byla změna motorické funkce hodnocená pomocí skóre zvaného HFMSE (rozšířená Hammersmithova funkční motorická škála) 1 rok po podání přípravku Itvisma. U pacientů užívajících přípravek Itvisma došlo ke změně skóre HFMSE o 2,4 bodu, zatímco u pacientů, kterým bylo podáváno placebo, to bylo o 0,5 bodu. To vyjadřuje zlepšení motorických schopností, jako je změna držení těla nebo pohyb paží, u léčených pacientů po jednom roce.

Studie provedené s přípravkem Itvisma jsou podrobněji popsány v hodnotící zprávě přípravku.

Jaké jsou nežádoucí účinky a omezení přípravku Itvisma?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Itvisma je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Itvisma (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou infekce horních cest dýchacích (infekce nosu a hrdla), horečka, zvracení a bolest hlavy. Dalšími častými nežádoucími účinky (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou zvýšené hladiny jaterních enzymů.

Některé nežádoucí účinky mohou být závažné. Nejčastějšími nežádoucími účinky (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou zvracení, zvýšené hladiny jaterních enzymů, bolest hlavy a horečka.

Na základě čeho byl přípravek Itvisma registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Itvisma vede ke klinicky významnému zlepšení motorických funkcí u pacientů ve věku od 2 let (dětí, dospívajících a dospělých) se spinální svalovou atrofií. Nežádoucí účinky byly podobné jako u jiného léčivého přípravku obsahujícího stejnou léčivou látku a byly považovány za zvladatelné. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Itvisma převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Itvisma?

Společnost, která přípravek Itvisma dodává na trh, poskytne zdravotnickým pracovníkům, pacientům a pečovateli edukační materiály s informacemi o spinální svalové atrofií, o tom, jak léčivý přípravek bezpečně používat, o souvisejících rizicích a o tom, jak identifikovat a hlásit nežádoucí účinky.

Tyto materiály zpřístupní příslušné vnitrostátní orgány na svých internetových stránkách. Seznam vnitrostátních úložišť je k dispozici na [internetových stránkách agentury EMA](#).

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Itvisma, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Itvisma průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Itvisma jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Itvisma

Přípravku Itvisma bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne.

Další informace o přípravku Itvisma, včetně příbalové informace a hodnotící zprávy, jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Informace o dostupnosti tohoto přípravku ve vaší zemi vám poskytne [příslušný vnitrostátní orgán](#).