



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogen abeparvovec*)

En letlæselig oversigt over Itvisma, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Itvisma, og hvad anvendes det til?

Itvisma er et genterapilægemiddel til behandling af spinal muskelatrofi (SMA), som er en alvorlig tilstand i nervecellerne (neuronerne), der forårsager muskelsvind og -svækkelse hos personer med nedarvede mutationer (forandringer) i SMN1-genet fra 2-årsalderen.

Spinal muskelatrofi er sjælden, og Itvisma blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 19. juni 2015. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme her:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma indeholder det aktive stof onasemnogen abeparvovec.

Hvordan anvendes Itvisma?

Itvisma fås kun på recept, og behandlingen bør indledes, gives og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af spinal muskelatrofi.

Lægemidlet fås som en injektionsvæske, opløsning. Det gives kun én gang ved intratekal indsprøjtning (i den nedre del af ryggen, direkte i væsken omkring rygmarven) på et hospital af en læge, der har erfaring med denne procedure. Patienterne skal muligvis have et beroligende middel, inden de får Itvisma.

Patienterne skal også tage prednisolon (eller et andet kortikosteroid) gennem munden 24 timer før de får Itvisma. Den daglige kortikosteroidbehandling fortsætter i ca. 2 måneder efter dosen af Itvisma, eller indtil patientens leverenzymniveau falder til et acceptabelt niveau. Lægen vil langsomt reducere dosen af binyrebarkhormon, indtil den helt stoppes.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Itvisma, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Itvisma?

Patienter med spinal muskelatrofi har en defekt i et gen kaldet SMN1, som kroppen har brug for til at danne et protein, der er afgørende for, at de nedre motoriske neuroner, dvs. nervecellerne i rygmarven, der styrer muskelbevægelserne, kan overleve og fungere normalt. Det aktive stof i Itvisma, onasemnogen abeparvovec, indeholder en funktionsdygtig kopi af dette gen. Når det

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



indsprøjtes, går det ind i de motoriske neuroner, hvorfra det tilfører det korrekte gen til at danne nok af proteinet og derved forbedre den motoriske funktion.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Itvisma?

Et hovedstudie blandt 126 børn med spinal muskelatrofi i alderen 2 år til under 18 år, som ikke tidligere var blevet behandlet med andre lægemidler til spinal muskelatrofi, og som selv kunne sidde op, men aldrig har kunnet gå uden støtte, viste, at Itvisma er effektivt til at forbedre den motoriske funktion sammenlignet med placebo (en uvirksom injektion).

Virkningen blev hovedsagelig bedømt på ændringen i den motoriske funktion, vurderet med skalaen HPMSE (Hammersmith functional motor scale – expanded) 1 år efter at have fået Itvisma. Ændringen i HFMSV-scoren var 2,4 hos de patienter, der fik Itvisma, sammenlignet med 0,5 hos dem, der fik placebo. Dette tyder på en forbedring af de motoriske evner – f.eks. at kunne skifte stilling eller bevæge armene – hos de behandlede patienter efter et år.

De gennemførte studier med Itvisma er beskrevet nærmere i lægemidlets vurderingsrapport.

Hvilke bivirkninger og begrænsninger er der ved Itvisma?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Itvisma fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Itvisma (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er infektioner i de øvre luftveje (næse og hals), feber, opkastning og hovedpine. Andre almindelige bivirkninger (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er forhøjede niveauer af leverenzymmer.

Nogle bivirkninger kan være alvorlige. De mest almindelige (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) omfatter opkastning, forhøjede niveauer af leverenzymmer, hovedpine og feber.

Hvorfor er Itvisma godkendt i EU?

Det er påvist, at Itvisma medfører klinisk væsentlige forbedringer i den motoriske funktion hos patienter i alderen 2 år og derover (børn, unge og voksne) med spinal muskelatrofi. Bivirkningerne var de samme som ved et andet lægemiddel, der indeholdt det samme aktive stof, og blev anset for at være håndterbare. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Itvisma opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvad gøres der for at sikre, at Itvisma anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Itvisma, vil udlevere uddannelsesmateriale til sundhedspersoner, patienter og omsorgspersoner med oplysning om spinal muskelatrofi, hvordan lægemidlet anvendes sikkert, risiciene ved lægemidlet, og hvordan bivirkninger identificeres og indberettes.

De nationale kompetente myndigheder kan gøre materialerne tilgængelige på deres websteder. Der findes en liste over de nationale materialer på [EMA's websted](#)

Der er også anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at de anvender Itvisma sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver oplysninger vedrørende anvendelsen af Itvisma løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Itvisma vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Itvisma

Itvisma fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den.

Der findes mere information om Itvisma, herunder indlægssedlen og vurderingsrapporten, på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Hvis du ønsker at vide, om lægemidlet er tilgængeligt i dit land, kan du kontakte den [nationale kompetente myndighed](#).