



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (ονασεμνογένη αμπεπαρβοβέκη)

Ανασκόπηση του Itvisma σε απλή γλώσσα και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Itvisma και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Itvisma είναι φάρμακο γονιδιακής θεραπείας για τη θεραπεία της νωτιαίας μυϊκής ατροφίας (SMA), μιας σοβαρής πάθησης των νευρικών κυττάρων (νευρώνων) που προκαλεί μυϊκή εξασθένιση και αδυναμία, σε άτομα ηλικίας 2 ετών και άνω με κληρονομικές μεταλλάξεις (αλλαγές) στο γονίδιο SMN1.

Η SMA είναι σπάνια ασθένεια και το Itvisma χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 19 Ιουνίου 2015. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Το Itvisma περιέχει τη δραστική ουσία ονασεμνογένη αμπεπαρβοβέκη.

Πώς χρησιμοποιείται το Itvisma;

Το Itvisma χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη, η χορήγηση και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιούνται από γιατρό με πείρα στη θεραπεία της νωτιαίας μυϊκής ατροφίας.

Το φάρμακο διατίθεται υπό μορφή ενέσιμου διαλύματος. Χορηγείται μία φορά μόνο με ενδορραχιαία ένεση (στο κάτω μέρος της πλάτης, απευθείας στο υγρό γύρω από τον νωτιαίο μυελό) σε νοσοκομειακό περιβάλλον από γιατρό με εμπειρία στη διεξαγωγή αυτής της διαδικασίας. Οι ασθενείς ενδέχεται να χρειαστεί να λάβουν καταστολή (φάρμακο για να χαλαρώσουν) πριν τους χορηγηθεί το Itvisma.

Στους ασθενείς θα χορηγηθεί επίσης πρεδνιζολόνη (ή άλλο κορτικοστεροειδές) από το στόμα, 24 ώρες πριν από τη χορήγηση του Itvisma. Η θεραπεία με κορτικοστεροειδή θα χορηγείται ημερησίως για περίπου 2 μήνες μετά τη δόση του Itvisma ή έως ότου τα ηπατικά ένζυμα των ασθενών μειωθούν σε αποδεκτό επίπεδο. Ο γιατρός θα μειώνει σταδιακά τη δόση του κορτικοστεροειδούς έως την πλήρη διακοπή της θεραπείας.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Itvisma, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Itvisma;

Οι ασθενείς με SMA παρουσιάζουν ελάττωμα σε ένα γονίδιο που ονομάζεται SMN1 και χρειάζεται ο οργανισμός για να παράγει μια πρωτεΐνη απαραίτητη για την επιβίωση και τη φυσιολογική λειτουργία

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



των κάτω κινητικών νευρώνων, δηλαδή των νευρικών κυττάρων του νωτιαίου μυελού που ελέγχουν τις μυϊκές κινήσεις. Η δραστική ουσία του Itvisma, η ονασεμονογένη αμπεπαρβοβέκη, περιέχει ένα λειτουργικό αντίγραφο του γονιδίου αυτού. Όταν χορηγείται με ένεση, το φάρμακο εκκρίνεται στους κινητικούς νευρώνες όπου παρέχει το σωστό γονίδιο για την παραγωγή επαρκούς ποσότητας της συγκεκριμένης πρωτεΐνης, βελτιώνοντας κατ' αυτόν τον τρόπο την κινητική λειτουργία.

Ποια είναι τα οφέλη του Itvisma σύμφωνα με τις μελέτες;

Μια κύρια μελέτη, στην οποία μετείχαν 126 παιδιά ηλικίας 2 έως κάτω των 18 ετών με SMA, τα οποία δεν είχαν λάβει στο παρελθόν θεραπεία με άλλα φάρμακα για τη θεραπεία της SMA και μπορούσαν να καθίσουν, αλλά δεν κατάφεραν ποτέ να περπατήσουν ανεξάρτητα, κατέδειξε ότι το Itvisma είναι αποτελεσματικό στη βελτίωση της κινητικής λειτουργίας σε σύγκριση με εικονικό φάρμακο (εικονική ένεση).

Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μεταβολή της κινητικής λειτουργίας, η οποία αξιολογήθηκε με την κλίμακα Hammersmith Functional Motor Scale – Expanded (HFMSSE) (λειτουργική κινητική κλίμακα Hammersmith – διευρυμένη) 1 έτος μετά τη λήψη του Itvisma. Η μεταβολή στη βαθμολογία HFMSSE ήταν 2,4 βαθμούς στους ασθενείς που έλαβαν Itvisma, σε σύγκριση με 0,5 στους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Αυτή η μεταβολή υποδεικνύει βελτίωση των κινητικών ικανοτήτων, όπως η αλλαγή στάσης ή η μετακίνηση των άνω άκρων, στους υπό θεραπεία ασθενείς μετά από ένα έτος.

Οι μελέτες που πραγματοποιήθηκαν για το Itvisma περιγράφονται αναλυτικότερα στην έκθεση αξιολόγησης του φαρμάκου.

Ποιες είναι οι ανεπιθύμητες ενέργειες και οι περιορισμοί του Itvisma;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Itvisma περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες του Itvisma (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι λοίμωξη της ανώτερης αναπνευστικής οδού (λοίμωξη της μύτης και του φάρυγγα), πυρετός, έμετος και κεφαλαλγία. Άλλες συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στους 10 ασθενείς) είναι αυξημένα επίπεδα ηπατικών ενζύμων.

Ορισμένες ανεπιθύμητες ενέργειες μπορεί να είναι σοβαρές. Οι πιο συχνές (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στους 10 ασθενείς) είναι έμετος, αυξημένα επίπεδα ηπατικών ενζύμων, κεφαλαλγία και πυρετός.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Itvisma στην ΕΕ;

Έχει καταδειχθεί ότι το Itvisma επέφερε κλινικά σημαντικές βελτιώσεις της κινητικής λειτουργίας σε ασθενείς ηλικίας 2 ετών και άνω (παιδιά, εφήβους και ενήλικες) με SMA. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες ήταν παρόμοιες με εκείνες ενός άλλου φαρμάκου που περιέχει την ίδια δραστική ουσία και θεωρήθηκαν διαχειρίσιμες. Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Itvisma υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Itvisma;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Itvisma θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό στους επαγγελματίες του τομέα της υγείας, στους ασθενείς και στους φροντιστές με πληροφορίες σχετικά με την SMA, τον τρόπο

ασφαλούς χρήσης του φαρμάκου, τους κινδύνους που συνδέονται με το φάρμακο και τον τρόπο εντοπισμού και αναφοράς των ανεπιθύμητων ενεργειών.

Το υλικό αυτό ενδέχεται να δημοσιευθεί από τις εθνικές αρμόδιες αρχές στον δικτυακό τους τόπο. Κατάλογος των εν λόγω εθνικών πόρων διατίθεται στον [δικτυακό τόπο του EMA](#).

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Itvisma.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Itvisma τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Itvisma θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Itvisma

Το Itvisma έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις.

Περισσότερες πληροφορίες για το Itvisma, καθώς και το φύλλο οδηγιών χρήσης και η έκθεση αξιολόγησης, διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Για πληροφορίες σχετικά με τη διαθεσιμότητα αυτού του φαρμάκου στη χώρα σας, επικοινωνήστε με την [εθνική αρμόδια αρχή](#).