



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*Onasemnogén abeparvovec*)

Información general en lenguaje claro sobre Itvisma y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Itvisma y para qué se utiliza?

Itvisma es un medicamento de terapia génica indicado en el tratamiento de la atrofia muscular espinal (AME), una enfermedad grave de las células nerviosas (neuronas) que provoca pérdida y debilidad muscular, en personas a partir de 2 años de edad con mutaciones (cambios) hereditarias en el gen SMN1.

La AME es una enfermedad «rara», e Itvisma fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 19 de junio de 2015. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma contiene el principio activo onasemnogén abeparvovec.

¿Cómo se usa Itvisma?

Itvisma solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento lo debe iniciar, administrar y supervisar un médico con experiencia en el tratamiento de la AME.

Se presenta en forma de solución inyectable. Se administra una sola vez mediante inyección intratecal (en la parte inferior de la espalda, directamente en el líquido que rodea la médula espinal) en un hospital por un médico con experiencia en la realización de este procedimiento. Puede ser necesario sedar a los pacientes (administrarles un medicamento para que se relajen) antes de administrarles Itvisma.

Los pacientes también recibirán prednisolona (u otro corticosteroide) por vía oral 24 horas antes de recibir Itvisma. El tratamiento diario con corticosteroides durará unos 2 meses después de la dosis de Itvisma, o hasta que los niveles de enzimas hepáticas del paciente disminuyan hasta un nivel aceptable. El médico reducirá lentamente la dosis de corticosteroides hasta que se pueda parar por completo.

Si desea más información sobre el uso de Itvisma, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Itvisma?

Los pacientes con AME presentan un defecto en un gen denominado SMN1, que el organismo necesita para crear una proteína esencial para la supervivencia y el funcionamiento normal de las motoneuronas inferiores, las células nerviosas de la médula espinal que controlan los movimientos musculares. El principio activo de Itvisma, el onasemnogén abeparvovec, contiene una copia funcional de este gen. Cuando se inyecta, pasa a las motoneuronas, desde donde proporciona el gen correcto para producir una cantidad suficiente de la proteína y, de este modo, mejorar la función motora.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Itvisma en los estudios realizados?

Un estudio principal en el que participaron 126 niños con AME de 2 a menos de 18 años de edad, que no habían sido tratados previamente con otros medicamentos para la AME y que podían sentarse pero nunca caminar de forma independiente, demostró que Itvisma es eficaz para mejorar la función motora en comparación con el placebo (una inyección simulada).

El criterio principal de valoración de la eficacia fue el cambio en la función motora evaluado con una escala denominada HFMSE (escala de valoración funcional de Hammersmith ampliada) un año después de recibir Itvisma. El cambio en la puntuación de la HFMSE fue de 2,4 en los pacientes que recibieron Itvisma, en comparación con 0,5 en los que recibieron placebo. Esto indica una mejora en los pacientes tratados de las capacidades motoras, como cambiar de postura o mover los brazos, al cabo de un año.

Los estudios realizados con Itvisma se describen con más detalle en el informe de evaluación del medicamento.

¿Cuáles son los efectos adversos y las restricciones de Itvisma?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Itvisma se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Itvisma (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son infección de las vías respiratorias superiores (infección de nariz y garganta), fiebre, vómitos y dolor de cabeza. Otros efectos adversos frecuentes (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son el aumento de los niveles de enzimas hepáticas.

Algunos efectos adversos pueden ser graves. Los más frecuentes (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son los vómitos, el aumento de los niveles de enzimas hepáticas, el dolor de cabeza y la fiebre.

¿Por qué se ha autorizado Itvisma en la UE?

Se ha demostrado que Itvisma produce mejoras clínicamente significativas en la función motora de pacientes a partir de 2 años de edad (niños, adolescentes y adultos) con AME. Los efectos adversos fueron similares a los de otro medicamento que contenía el mismo principio activo y se consideraron controlables. La Agencia Europea de Medicamentos decidió por consiguiente que los beneficios de Itvisma eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Itvisma?

La compañía que comercializa Itvisma proporcionará materiales educativos a los profesionales sanitarios, los pacientes y los cuidadores con información sobre la AME y sobre cómo utilizar el

medicamento de forma segura, los riesgos asociados al medicamento y cómo identificar y notificar los efectos adversos.

Las autoridades nacionales competentes publicarán estos materiales en sus sitios web. La lista de estos recursos nacionales está disponible en el [sitio web de la EMA](#).

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Itvisma se han incluido también en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Itvisma se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Itvisma se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Itvisma

Itvisma recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el.

Puede encontrar más información sobre Itvisma, incluidos el prospecto y el informe de evaluación, en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Si desea obtener información sobre la disponibilidad de este medicamento en su país, póngase en contacto con la [autoridad nacional competente](#) correspondiente.