



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogeen-abeparvovek*)

Lihtne ülevaade ravimist Itvisma ja miks anti sellele ELis müügiluba

Mis on Itvisma ja milleks seda kasutatakse?

Itvisma on geeniteraapiaravim, mida kasutatakse SMN1-geeni pärilike mutatsioonidega (muutustega) vähemalt 2-aastastel patsientidel spinaalse lihaskatroofia (SMA) raviks. See on närvirakkude (neuronite) raske seisund, mis põhjustab lihaste kõhnumist ja nõrkust.

Spinaalne lihaskatroofia esineb harva ja Itvisma nimetati 19. juunil 2015 harvikravimiks. Harvikravimiks nimetamise lisateave: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma sisaldab toimeainet onasemnogeen-abeparvovekit.

Kuidas Itvismat kasutatakse?

Itvisma on retseptiravim. Ravi peab alustama ja jälgima spinaalse lihaskatroofia ravis kogenud arst.

Itvismat turustatakse süstelahusena. Seda manustab ainult üks kord intratekaalse süstena (alaseljas, otse seljaaju ümbritsevasse vedelikku) haiglas arst, kes on selle protseduuri tegemises kogenud. Enne Itvisma süstet võib olla vaja manustada patsiendile rahustavat ravimit (patsiendi sedateerimine).

Patsiendid võtavad 24 tundi enne Itvisma süstet ka suukaudset prednisolooni (või muud kortikosteroidi). Igapäevane kortikosteroidravi kestab ligikaudu 2 kuud pärast Itvisma annust või kuni patsiendi maksaensüümide sisaldus väheneb vastuvõetava tasemeni. Arst vähendab järk-järgult kortikosteroidi annust, kuni ravi saab täielikult lõpetada.

Lisateavet Itvisma kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Itvisma toimib?

Spinaalse lihaskatroofiaga patsientidel on defekt SMN1-geenis, mida organism vajab, et toota alumiste motoneuronite (seljaaju närvirakkude, mis reguleerivad lihaste liikumist) ellujäämiseks ja normaalseks toimimiseks hädavajalikku valku. Itvisma toimeaine onasemnogeen-abeparvovek sisaldab selle geeni toimivat koopiat. Süstimisel liigub see motoneuronitesse, kus annab õige geeni, et toota piisavalt valku ja seega täiustada mootorset funktsiooni.

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



Mis on uuringute põhjal Itvisma kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 126 spinaalse lihaskatkestusega last vanuses 2–18 aastat, keda ei olnud varem ravitud spinaalse lihaskatkestuse muude ravimitega ja kes suutsid istuda, kuid ei olnud kunagi suutnud iseseisvalt kõndida, tõendati, et Itvisma on motoorse funktsiooni parendamisel efektiivne võrreldes platseeboga (näiva süstega).

Efektiivsuse põhinäitaja oli motoorse funktsiooni muutus, mida hinnati skaalal HFMSE (Hammersmithi funktsionaalse mootorika laiendatud skaala) 1 aasta pärast Itvisma süstet. HFMSE-skoor muutus Itvismat saanud patsientidel 2,4 võrra ja platseebot saanutel 0,5 võrra. See näitab ravitud patsientide motoorsete võimete, näiteks asendi muutmise või käte liigutamise paremist ühe aasta järel.

Itvismaga tehtud uuringuid kirjeldatakse üksikasjalikult ravimi hindamisaruandes.

Mis on Itvisma kõrvalnähud ja piirangud?

Itvisma kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Itvisma kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks ülemiste hingamisteede infektsioon (nina- ja kurguinfektsioon), palavik, oksendamine ja peavalu. Muud sagedad kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on maksaensüümide sisalduse suurenemine.

Mõni kõrvalnäht võib olla raske. Kõige sagedamad (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on näiteks oksendamine, maksaensüümide sisalduse suurenemine, peavalu ja palavik.

Miks Itvisma ELis heaks kiideti?

On tõendatud, et Itvisma parendas spinaalse lihaskatkestusega vähemalt 2-aastastel patsientidel (lapsed, noorukid ja täiskasvanud) kliiniliselt oluliselt motoorset funktsiooni. Kõrvalnähud sarnanesid sama toimeainet sisaldavate muude ravimite kõrvalnähtudega ja neid peeti hallatavaks. Euroopa Raviamet otsustas, et Itvisma kasulikkus on suurem kui selle riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Kuidas tagatakse Itvisma ohutu ja efektiivne kasutamine?

Itvisma turustaja annab tervishoiutöötajatele, patsientidele ja hooldajatele teabematerjalid, milles on spinaalse lihaskatkestuse, ravimi ohutu kasutamise, ravimi riskide ning kõrvalnähtude tuvastamise ja nendest teatamise teave.

Riiklikud pädevad asutused võivad avaldada need materjalid oma veebilehel. Riiklike andmehoidlate loetelu on [EMA veebilehel](#).

Itvisma ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Itvisma kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Itvisma oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Itvisma kohta

Itvisma on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis,

Itvisma lisateave, sealhulgas pakendi infoleht ja hindamisaruanne, on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Kui soovite teada, kas seda ravimit turustatakse teie riigis, võtke ühendust [riikliku pädeva asutusega](#).