



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogeneeniabeparvovekki*)

Yleistajuiset yleistiedot Itvisma-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Itvisma on ja mihin sitä käytetään?

Itvisma on geeniterapiavalmiste spinaaliseen lihasatrofiaan (SMA), joka on vakava hermosolujen sairaus. Se aiheuttaa lihasten surkastumista ja heikkoutta vähintään 2-vuotiailla potilailla, joilla on perinnöllisiä SMN1-geenin mutaatioita (muutoksia).

SMA on harvinainen sairaus, ja Itvisma nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 19. kesäkuuta 2015. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisman vaikuttava aine on onasemnogeneeniabeparvovekki.

Miten Itvismaa käytetään?

Itvismaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta spinaalisen lihasatrofian hoidosta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa.

Lääkettä on saatavana injektionesteenä. Se annetaan intratekaalisena kertainjektiona (alaselkään, suoraan selkäydintä ympäröivään nesteeseen) sairaalassa. Injektion antaa lääkäri, jolla on kokemusta toimenpiteestä. Potilaille on mahdollisesti annettava rauhoittavaa lääkettä ennen Itvisman antamista.

Potilaille annetaan myös prednisolonia (tai muuta kortikosteroidia) suun kautta 24 tuntia ennen Itvisman antamista. Päivittäinen kortikosteroidihoito kestää noin kaksi kuukautta Itvisma-annoksen jälkeen tai kunnes potilaan maksaentsyymiarvot laskevat hyväksyttävälle tasolle. Lääkäri pienentää kortikosteroidiannosta hitaasti, kunnes hoito voidaan lopettaa kokonaan.

Lisätietoja Itvisman käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Itvisma vaikuttaa?

Spinaalista lihasatrofiaa sairastavien potilaiden SMN1-geenissä on virhe. Elimistö tarvitsee tätä geeniä tuottamaan proteiinia, joka on välttämätön kehon alempien liikehermosolujen eli selkäytimen lihasliikkeitä säätelevien hermosolujen eloonjäämiselle ja normaalille toiminnalle. Itvisman vaikuttava aine onasemnogeneeniabeparvovekki sisältää kyseisen geenin toimivan kopion. Kun valmistetta

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



© European Medicines Agency, 2026. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

injektoidaan, se kulkeutuu liikehermosoluihin, joissa se tuottaa virheettömän geenin, ja elimistö pystyy valmistamaan riittävästi proteiinia ja siten parantamaan motorista toimintaa.

Mitä hyötyä Itvismasta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimukseen osallistui 126 spinaalista lihasatrofiaa sairastavaa 2–18-vuotiasta lasta, joita ei ollut hoidettu aiemmin muilla spinaaliseen lihasatrofiaan tarkoitetuilla lääkkeillä ja jotka pystyivät istumaan mutta eivät olleet koskaan kävelleet itsenäisesti. Tutkimuksessa osoitettiin, että Itvisma parantaa tehokkaasti motorista toimintaa lumelääkkeeseen verrattuna (lumeinjektio).

Tehon pääasiallisena mittana oli motorisen toiminnan muutos, jota arvioitiin HFMSE-pisteillä (Hammersmith functional motor scale – expanded) vuoden kuluttua Itvisman saamisesta. HFMSE-pisteet muuttuivat Itvismaa saaneilla potilailla 2,4 pistettä ja lumelääkettä saaneilla 0,5 pistettä. Tämä osoittaa parannusta hoidettujen potilaiden motorisissa kyvyissä, kuten asennon muuttamisessa tai käsivarsien liikuttelussa, vuoden kuluttua.

Itvismalla tehtyjä tutkimuksia kuvataan tarkemmin lääkevalmisteen arviointiraportissa.

Mitkä ovat Itvisman haittavaikutukset ja rajoitukset?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Itvisman ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Itvisman yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat ylähengitystieinfektio (nenän ja kurkun infektio), kuume, oksentelu ja päänsärky. Muita yleisiä haittavaikutuksia (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat kohonneet maksaentsyymipitoisuudet.

Jotkin haittavaikutukset voivat olla vakavia. Yleisimpiä haittavaikutuksia (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat oksentelu, kohonneet maksaentsyymipitoisuudet, päänsärky ja kuume.

Miksi Itvisma on hyväksytty EU:ssa?

Itvisman on osoitettu parantavan kliinisesti merkittävästi motorista toimintaa vähintään 2-vuotiailla potilailla (lapsilla, nuorilla ja aikuisilla), joilla on SMA. Haittavaikutukset olivat samanlaisia kuin toisella samaa vaikuttavaa ainetta sisältävällä lääkkeellä, ja niiden katsottiin olevan hallittavissa. Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Itvismasta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Itvisman turvallinen ja tehokas käyttö?

Itvismaa markkinoiva yhtiö toimittaa terveydenhuollon ammattilaisille, potilaille ja hoitajille perehdytysmateriaalia, joka sisältää tietoa spinaalisesta lihasatrofiasta, lääkkeen turvallisesta käytöstä, lääkkeeseen liittyvistä riskeistä sekä haittavaikutusten tunnistamisesta ja ilmoittamisesta.

Kansalliset toimivaltaiset viranomaiset voivat asettaa nämä aineistot saataville verkkosivustoillaan. Luettelon kansallisista tietoresursseista saa [EMAn verkkosivustolta](#).

Itvisman turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvetoon ja pakkauselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Itvisman käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Itvismasta ilmoitetut epäillyt haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet tehdään potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Itvismasta

Itvisma sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan.

Lisätietoja Itvismasta, mukaan lukien pakkausseloste ja arviointiraportti, on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Tietoa tämän lääkkeen saatavuudesta kussakin maassa saa ottamalla yhteyttä [kansalliseen toimivaltaiseen viranomaiseen](#).