



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogene abeparvovec*)

Aperçu en langage clair d'Itvisma et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Itvisma et dans quel cas est-il utilisé?

Itvisma est un médicament de thérapie génique utilisé dans le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA), une maladie grave des cellules nerveuses (neurones) qui provoque l'atrophie et la faiblesse musculaires chez les personnes âgées de 2 ans et plus présentant des mutations (modifications) héréditaires du gène SMN1.

La maladie SMA est rare et Itvisma a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 19 juin 2015. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles ici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma contient la substance active onasemnogene abeparvovec.

Comment Itvisma est-il utilisé?

Itvisma n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré, administré et supervisé par un médecin expérimenté dans le traitement de la SMA.

Le médicament est disponible sous la forme d'une solution injectable. Il est administré en une seule fois par injection intrathécale (dans le bas du dos, directement dans le liquide entourant la moelle épinière), en milieu hospitalier, par un médecin expérimenté dans la mise en œuvre de cette procédure. Il peut être nécessaire de mettre les patients sous sédation (en leur administrant un médicament pour les calmer) avant de leur administrer Itvisma.

Les patients se verront également administrer de la prednisolone (ou un autre corticoïde) par voie orale, 24 heures avant de recevoir Itvisma. Le traitement quotidien par corticoïdes durera environ deux mois après l'administration de la dose d'Itvisma, ou jusqu'à ce que les taux d'enzymes hépatiques du patient diminuent pour atteindre un niveau acceptable. Le médecin réduira lentement la dose de corticoïdes jusqu'à ce que l'on puisse en arrêter complètement l'administration.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Itvisma, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

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



Comment Itvisma agit-il?

Les patients atteints de SMA présentent une déficience d'un gène appelé SMN1, dont le corps a besoin pour fabriquer une protéine essentielle à la survie et au fonctionnement normal des motoneurones inférieurs (à savoir les cellules nerveuses de la moelle épinière qui contrôlent les mouvements musculaires). La substance active d'Itvismaa, onasemnogene abeparvovec, contient une copie fonctionnelle de ce gène. Après avoir été injectée, elle passe dans les motoneurones, où elle fournit le gène correct permettant de produire suffisamment de protéines et ainsi d'améliorer la fonction motrice.

Quels sont les bénéfices d'Itvisma démontrés au cours des études?

Une étude principale portant sur 126 enfants atteints de SMA âgés de 2 à moins de 18 ans, qui n'avaient pas été traités auparavant par d'autres médicaments contre la SMA et qui étaient capables de s'asseoir mais n'avaient jamais été en mesure de marcher de manière indépendante, a montré qu'Itvisma – comparé à un placebo (une injection factice) – est efficace pour améliorer la fonction motrice.

Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était le changement de la fonction motrice évalué à l'aide d'une échelle appelée HFMSE (*Hammersmith functional motor scale – expanded*) un an après l'administration d'Itvisma. La variation du score HFMSE était de 2,4 chez les patients sous Itvisma, contre 0,5 chez ceux sous placebo. Cette évolution indique une amélioration des capacités motrices, telles que le changement de posture ou le déplacement des bras, chez les patients traités après un an.

Les études réalisées avec Itvisma sont plus amplement détaillées dans le rapport d'évaluation du médicament.

Quels sont les effets indésirables et les restrictions associés à Itvisma?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Itvisma, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Itvisma (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: infection des voies respiratoires supérieures (infection du nez et de la gorge), fièvre, vomissements et maux de tête. D'autres effets indésirables couramment observés (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont l'augmentation des taux d'enzymes hépatiques.

Certains effets indésirables peuvent être graves. Les plus fréquents (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont notamment les suivants: vomissements, augmentation des taux d'enzymes hépatiques, maux de tête et fièvre.

Pourquoi Itvisma est-il autorisé dans l'UE?

Il a été démontré qu'Itvisma apportait des améliorations cliniquement pertinentes de la fonction motrice chez les patients âgés de 2 ans et plus (enfants, adolescents et adultes) atteints de SMA. Les effets indésirables étaient similaires à ceux observés avec un autre médicament contenant la même substance active et ont été considérés comme gérables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Itvisma sont supérieurs à ses risques et que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE peut être autorisée.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Itvisma?

La société qui commercialise Itvisma fournira aux professionnels de santé, aux patients et aux soignants du matériel éducatif contenant des informations sur la SMA, sur la manière d'utiliser le médicament en toute sécurité, sur les risques associés à son utilisation et sur la manière d'identifier et de signaler les effets indésirables.

Ces documents seront mis à disposition par les autorités nationales compétentes sur leurs sites web. Une liste des répertoires nationaux est disponible sur le [site web de l'EMA](#).

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Itvisma ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Itvisma sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Itvisma sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Itvisma:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Itvisma le

De plus amples informations sur Itvisma, y compris la notice et le rapport d'évaluation, sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Pour obtenir des informations sur la disponibilité de ce médicament dans votre pays, contactez votre [autorité nationale compétente](#).