



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogen abeparvovek*)

Pregled informacija o lijeku Itvisma na jednostavnom jeziku i zašto je odobren u EU-u

Što je Itvisma i za što se koristi?

Itvisma je lijek za gensku terapiju koja se koristi u liječenju spinalne mišićne atrofije (SMA), ozbiljne bolesti živčanih stanica (neurona) koja uzrokuje slabljenje i atrofiranje mišića u osoba u dobi od dvije godine i starijih s naslijeđenim mutacijama (promjenama) gena SMN1.

SMA je rijetka bolest, a lijek Itvisma dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 19. lipnja 2015. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je ovdje:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma sadrži djelatnu tvar onasemnogen abeparvovek.

Kako se Itvisma primjenjuje?

Itvisma se izdaje samo na recept, a liječenje mora započeti, primjenjivati i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju SMA-e.

Lijek je dostupan kao otopina za injekciju. Primjenjuje ga liječnik s iskustvom u izvođenju tog postupka samo jednom intratekalnom injekcijom (u donji dio leđa, izravno u tekućinu u prostoru oko kralježnične moždine) u bolničkom okruženju. Bolesnicima će možda biti potrebno dati sedaciju (lijek koji će ih opustiti) prije nego što prime lijek Itvisma.

Bolesnici će također primiti prednizolon (ili drugi kortikosteroid) kroz usta, 24 sata prije nego što prime lijek Itvisma. Svakodnevna terapija kortikosteroidima trajat će otprilike dva mjeseca nakon primanja doze lijeka Itvisma ili dok se razine jetrenih enzima u bolesnika ne smanje na prihvatljivu razinu. Liječnik će polako smanjivati dozu kortikosteroida sve dok se liječenje ne bude moglo u potpunosti prekinuti.

Za više informacija o primjeni lijeka Itvisma pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se svojem liječniku ili ljekarniku.

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



Kako djeluje Itvisma?

Bolesnici sa SMA-om imaju oštećenje na genu SMN1 koji je tijelu potreban za proizvodnju proteina ključnog za preživljenje i normalnu funkciju donjih motornih neurona, živčanih stanica iz kralježnične moždine koje upravljaju pokretima mišića. Djelatna tvar lijeka Itvisma, onasemnogen abeparvovek, sadrži funkcionalnu kopiju tog gena. Kada se ubrizga, ulazi u motoričke neurone gdje isporučuje ispravan gen za stvaranje dovoljno proteina i time poboljšava motoričku funkciju.

Koje su koristi od lijeka Itvisma utvrđene u ispitivanjima?

Glavno ispitivanje koje je obuhvatilo 126 djece sa SMA-om u dobi od 2 do manje od 18 godina, koja prethodno nisu bila liječena drugim lijekovima protiv SMA-e i koja su mogla sjediti, ali nikada nisu mogla samostalno hodati, pokazalo je da je lijek Itvisma učinkovit u poboljšanju motoričke funkcije u usporedbi s placebom (fiktivnom injekcijom).

Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena motoričke funkcije ocijenjena proširenom ljestvicom za ocjenu motoričke funkcije HFMSE (engl. *Hammersmith Functional Motor Scale – Expanded*, HFMSE) godinu dana nakon primanja lijeka Itvisma. Promjena rezultata na ljestvici HFMSE iznosila je 2,4 u bolesnika koji su primili lijek Itvisma, u usporedbi s 0,5 u bolesnika koji su primili placebo. To upućuje na poboljšanje motoričkih sposobnosti, kao što je promjena položaja ili pomicanje ruku, u liječenih bolesnika nakon godinu dana.

Ispitivanja provedena s lijekom Itvisma detaljnije su opisana u izvješću o procjeni lijeka.

Koje su nuspojave i ograničenja povezana s lijekom Itvisma?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Itvisma potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Itvisma (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju infekciju gornjih dišnih puteva (infekciju nosa i grla), vrućicu, povraćanje i glavobolju. Ostale česte nuspojave (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba) jesu povišene razine jetrenih enzima.

Neke nuspojave mogu biti ozbiljne. Najčešće nuspojave (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba) uključuju povraćanje, povišene razine jetrenih enzima, glavobolju i vrućicu.

Zašto je lijek Itvisma odobren u EU-u?

Utvrđeno je da lijek Itvisma dovodi do klinički značajnih poboljšanja motoričke funkcije bolesnika u dobi od dvije godine i starijih (djece, adolescenata i odraslih) sa SMA-om. Nuspojave su bile slične onima koje se javljaju pri primjeni drugog lijeka koji sadrži istu djelatnu tvar i smatralo se da ih je moguće kontrolirati. Europska agencija za lijekove zaključila je stoga da koristi od lijeka Itvisma nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Itvisma?

Tvrtka koja lijek Itvisma stavlja u promet dostavit će materijale za obuku zdravstvenim radnicima, bolesnicima i njegovateljima s informacijama o SMA-i, o tome kako sigurno primjenjivati lijek, o rizicima povezanim s lijekom te o tome kako prepoznati i prijaviti nuspojave.

Te materijale nacionalna nadležna tijela mogu staviti na raspolaganje na svojim mrežnim mjestima. Popis nacionalnih repozitorija dostupan je na [mrežnom mjestu EMA-e](#).

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Itvisma nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Itvisma kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Itvisma pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Itvisma

Za lijek Itvisma izdano je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od.

Više informacija o lijeku Itvisma, uključujući uputu o lijeku i izvješće o procjeni, dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Za informacije o dostupnosti ovog lijeka u vašoj zemlji obratite se svojem [nacionalnom nadležnom tijelu](#).