



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onaszemnogén abeparvovek*)

Az Itvisma-ra vonatkozó közérthető áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Itvisma és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Itvisma az SMN1 gén öröklött mutációit (elváltozásait) hordozó, 2 éves kort betöltött személyeknél az idegsejtek (neuronok) izomsorvadást és izomgyengeséget okozó súlyos betegsége, a spinális muszkuláris atrófia (SMA) kezelésére alkalmazott génterápiás gyógyszer.

Mivel az SMA „ritkának” minősül, ezért az Itvisma-t 2015. június 19-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információk a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Az Itvisma hatóanyaga az onaszemnogén abeparvovek.

Hogyan kell alkalmazni az Itvisma-t?

Az Itvisma csak receptre kapható, és a kezelést az SMA kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie, beadnia és felügyelnie.

A gyógyszer oldatos injekció formájában kapható. A gyógyszert csak egyszer, intratekális injekció formájában (a hát alsó területére, közvetlenül a gerincvelőt körülvevő folyadékba) adja be kórházban az eljárás elvégzésében tapasztalt orvos. Az Itvisma alkalmazása előtt szükséges lehet a betegek szedálása (gyógyszer alkalmazása a betegek megnyugtatása céljából).

A betegek az Itvisma beadása előtt 24 órával szájon át alkalmazott prednizolont (vagy egy másik kortikoszteroidot) is kapnak. A napi kortikoszteroid-kezelés az Itvisma beadását követően körülbelül 2 hónapig, vagy addig fog tartani, amíg a beteg májenzimszintje elfogadható szintre nem csökken. A kezelőorvos lassan fogja csökkenteni a kortikoszteroid adagját, amíg a kortikoszteroid-kezelés teljesen le nem állítható.

Az Itvisma alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását az Itvisma?

Az SMA-ban szenvedő betegeknél hibás az SMN1 nevű gén, amelyre a szervezetnek ahhoz van szüksége, hogy az alsó motoros neuronok, azaz a gerincvelőből az izommozgásokat szabályozó idegsejtek túléléséhez és normális működéséhez nélkülözhetetlen fehérjét előállítsa. Az Itvisma hatóanyaga, az onaszemnogén abeparvovek e gén egy funkcionális másolatát tartalmazza. Befecskendezéskor bejut a motoros neuronokba, ahol a megfelelő gént biztosítja a fehérje elegendő mennyiségének előállításához, és ezáltal javítja a motoros funkciót.

Milyen előnyei voltak az Itvisma alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálat, amelyben 126, SMA-ban szenvedő, 2 és kevesebb, mint 18 év közötti olyan gyermek vett részt, akiket korábban nem kezeltek más SMA-gyógyszerekkel, és akik képesek voltak ülni, de soha nem tudtak önállóan járni, azt igazolta, hogy az Itvisma placebóval (hatóanyag nélküli injekcióval) összehasonlítva hatásosan javítja a motoros funkciót.

A hatásosság fő mutatója a motoros funkció változása volt, amelyet az Itvisma beadását követően egy év elteltével a HFMSE (Hammersmith funkcionális motoros skála – expandált) nevű skálával értékelték. A HFMSE-pontszám változása 2,4 volt az Itvisma-val kezelt betegeknél, szemben a placebóval kezelt betegeknél mért 0,5-del. Ez azt jelzi, hogy a kezelt betegek motoros képességei – például testtartásuk megváltoztatása vagy karjuk mozgatása – egy év elteltével javultak.

Az Itvisma-val végzett vizsgálatok részletesebb leírása a gyógyszer értékelő jelentésében található.

Milyen mellékhatásokkal és korlátozásokkal jár az Itvisma alkalmazása?

Az Itvisma alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Itvisma leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a felső légúti fertőzés (orr- és torokfertőzés), a láz, a hányás és a fejfájás. Egyéb gyakori mellékhatás (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a májenzimek megemelkedett szintje.

Egyes mellékhatások súlyosak lehetnek. A leggyakoribbak (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a hányás, a májenzimek megemelkedett szintje, a fejfájás és a láz.

Miért engedélyezték az Itvisma forgalomba hozatalát az EU-ban?

A vizsgálatok igazolták, hogy az Itvisma a motoros funkció klinikailag jelentős javulását eredményezi SMA-ban szenvedő, 2 éves és idősebb betegeknél (gyermekek, serdülők és felnőttek). A mellékhatások hasonlóak voltak egy másik, ugyanazt a hatóanyagot tartalmazó gyógyszer mellékhatásaihoz, és kezelhetőnek minősültek. Az Európai Gyógyszerügynökség ezért megállapította, hogy az Itvisma alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, és így a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Itvisma biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Itvisma-t forgalmazó vállalat oktatóanyagokat fog biztosítani az egészségügyi szakemberek, a betegek és a gondozók számára, amelyekben tájékoztatást nyújt az SMA-ról, a gyógyszer biztonságos alkalmazásáról, a gyógyszerhez kapcsolódó kockázatokról, valamint a mellékhatások azonosításának és jelentésének módjáról.

Ezeket az anyagokat az illetékes nemzeti hatóságok rendelkezésre bocsátják a honlapjukon. E nemzeti források listája elérhető az [EMA honlapján](#).

Az Itvisma biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Itvisma alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Itvisma alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Itvisma-val kapcsolatos egyéb információ

-án/-én az Itvisma az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

Az Itvisma-val kapcsolatban további információk, a betegtájékoztatót és az értékelő jelentést is beleértve, az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Amennyiben tájékozódni szeretne arról, hogy a gyógyszer elérhető-e az Ön országában, vegye fel a kapcsolatot az [illetékes nemzeti hatósággal](#).