



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogene abeparvovec*)

Sintesi in linguaggio semplice di Itvisma e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Itvisma e per cosa si usa?

Itvisma è un medicinale per terapia genica utilizzato per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA), una grave patologia delle cellule nervose (neuroni) che causa indebolimento e deperimento muscolare, nelle persone di età pari o superiore a 2 anni con mutazioni (alterazioni) ereditarie nel gene SMN1.

La SMA è rara e Itvisma è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 19 giugno 2015. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'EMA: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma contiene il principio attivo onasemnogene abeparvovec.

Come si usa Itvisma?

Itvisma può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato, somministrato e supervisionato da un medico con esperienza nel trattamento della SMA.

Il medicinale è disponibile in soluzione iniettabile. Viene somministrato una sola volta mediante iniezione intratecale (nella parte bassa della schiena, direttamente nel liquido che circonda il midollo spinale), in ambito ospedaliero, da un medico esperto nell'esecuzione di tale procedura. Prima della somministrazione di Itvisma, i pazienti potrebbero dover essere sedati (potrebbe essere loro somministrato un medicinale per calmarli).

Ai pazienti viene inoltre somministrato prednisolone (o un altro corticosteroide) per via orale, 24 ore prima della somministrazione di Itvisma. Il trattamento giornaliero con corticosteroidi prosegue per circa 2 mesi dopo la somministrazione di Itvisma oppure fino a quando i livelli degli enzimi epatici del paziente non scendono a un valore accettabile. Il medico ridurrà lentamente la dose di corticosteroide fino alla completa sospensione.

Per maggiori informazioni sull'uso di Itvisma, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

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



Come agisce Itvisma?

I pazienti affetti da SMA presentano un difetto in un gene chiamato SMN1, necessario all'organismo per produrre una proteina essenziale per la sopravvivenza e il normale funzionamento dei motoneuroni inferiori, le cellule nervose del midollo spinale che controllano i movimenti muscolari. Il principio attivo di Itvisma, onasemnogene abeparvovec, contiene una copia funzionale di questo gene. Una volta iniettato, raggiunge i motoneuroni, dove fornisce il gene corretto per produrre una quantità sufficiente della proteina, migliorando così la funzione motoria.

Quali benefici di Itvisma sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale, condotto su 126 bambini e adolescenti affetti da SMA di età compresa tra 2 e meno di 18 anni, non precedentemente trattati con altri medicinali per la SMA e in grado di sedersi ma mai in grado di camminare autonomamente, ha dimostrato che Itvisma è efficace nel migliorare la funzione motoria rispetto al placebo (un'iniezione fittizia).

Il principale parametro di efficacia era la variazione della funzione motoria a 1 anno dalla somministrazione di Itvisma, valutata mediante una scala denominata HFMSE (Hammersmith Functional Motor Scale – Expanded). La variazione del punteggio HFMSE è stata di 2,4 nei pazienti trattati con Itvisma, rispetto a 0,5 nei pazienti trattati con placebo. Ciò indica che, dopo un anno, nei pazienti trattati è stato osservato un miglioramento delle capacità motorie, come il cambiamento di postura o il movimento delle braccia.

Gli studi effettuati con Itvisma sono trattati più dettagliatamente nella relazione di valutazione del medicinale.

Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Itvisma?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Itvisma, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Itvisma (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono infezione delle vie respiratorie superiori (infezione di naso e gola), febbre, vomito e cefalea. Altri effetti indesiderati comuni (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono livelli aumentati degli enzimi epatici.

Alcuni effetti indesiderati possono essere gravi. I più frequenti (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono vomito, livelli aumentati degli enzimi epatici, cefalea e febbre.

Perché Itvisma è autorizzato nell'UE?

È stato dimostrato che Itvisma determina miglioramenti clinicamente significativi della funzione motoria nei pazienti di età pari o superiore a 2 anni (bambini, adolescenti e adulti) affetti da SMA. Gli effetti indesiderati sono simili a quelli osservati con un altro medicinale contenente lo stesso principio attivo e sono stati considerati gestibili. L'Agenzia europea per i medicinali ha pertanto deciso che i benefici di Itvisma sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Itvisma?

La ditta che commercializza Itvisma fornirà materiali formativi agli operatori sanitari, ai pazienti e a chi presta loro assistenza, contenenti informazioni sulla SMA, sull'uso sicuro del medicinale, sui relativi rischi e su come riconoscere e segnalare gli effetti indesiderati.

Tali materiali potranno essere resi disponibili dalle autorità nazionali competenti sui rispettivi siti web. Un elenco di queste risorse nazionali è disponibile sul [sito web dell'EMA](#).

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Itvisma sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Itvisma sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Itvisma sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

Altre informazioni su Itvisma

Itvisma ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il.

Ulteriori informazioni su Itvisma, compresi il foglio illustrativo e la relazione di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Per informazioni sulla disponibilità di questo medicinale nel proprio paese, contattare l'[autorità nazionale competente](#).