



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogenas abeparvovekas*)

Paprasta kalba parengta Itvisma apžvalga ir paaiškinimas, kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Itvisma ir kam jis vartojamas?

Itvisma – tai genų terapijos vaistas, skiriamas 2 metų ir vyresniems pacientams, sergantiems spinaline raumenų atrofija (SRA) – sunkia nervų nykimą ir silpnumą sukeliančia nervų ląstelių (neuronų) liga, esant geno SMN1 bialelinei mutacijai (pakitimams), gydyti.

SRA yra reta liga, todėl 2015 m. birželio 19 d. Itvisma buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma sudėtyje yra veikliosios medžiagos onasemnogeno abeparvoveko.

Kaip vartoti Itvisma?

Itvisma galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydytą turi pradėti, atlikti ir prižiūrėti gydytojas, turintis SRA gydymo patirties.

Gaminamas šio vaisto injekcinis tirpalas. Pacientui vaisto leidžiama tik vieną kartą atliekant injekciją į povoratinklinę ertmę (tiesiai į stuburo smegenų skystį apatinėje nugaros dalyje). Procedūrą ligoninėje atlieka gydytojas, turintis tokios procedūros atlikimo patirties. Prieš suleidžiant Itvisma, pacientams gali reikėti taikyti sedaciją (suleisti raminamųjų vaistų).

Likus 24 valandoms iki procedūros pacientams taip pat skiriama geriamojo prednizolono (arba kito kortikosteroido) per burną. Po Itvisma injekcijos kortikosteroidai vartojami maždaug du mėnesius arba kol paciento kepenų fermentų kiekis sumažėja iki priimtino lygio. Gydytojas pamažu mažina kortikosteroidų dozę, kol jų vartojimą galima visiškai nutraukti.

Daugiau informacijos apie Itvisma vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

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



Kaip veikia Itvisma?

SRA sergantys pacientai turi geno SMN1 defektą. Šis genas organizme leidžia gaminti baltymą, būtiną apatinių motorinių neuronų (stuburo smegenų nervų ląstelių, kontroliuojančių raumenų judesius) išgyvenimui ir normaliam veikimui. Veikliosios Itvisma medžiagos onasemnogeno abeparvoveko sudėtyje yra šio geno funkcinė kopija. Sušvirkšta ji patenka į motorinius neuronus ir juose suaktyvina teisingą geną, kad jis pagamintų pakankamą baltymo kiekį, ir taip pagerina motorinę funkciją.

Kokia Itvisma nauda nustatyta tyrimų metu?

Pagrindinis tyrimas, kuriame dalyvavo 126 SRA sergantys 2–18 metų vaikai, kurie dar nebuvo gydyti kitais vaistais nuo SRA ir kurie galėjo sėdėti, bet niekada negalėjo savarankiškai vaikščioti, parodė, kad Itvisma veiksmingai gerina motorinę funkciją, palyginti su placebo (netikru švirkščiamuoju preparatu).

Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo tai, kaip per 1 metus nuo Itvisma vartojimo pasikeitė motorinės funkcijos vertinant pagal HFMSE funkcinės motorikos vertinimo skalę (angl. *Hammersmith functional motor scale – expanded*). Vertinimo pagal HFMSE skalę pokytis Itvisma vartojusių pacientų grupėje buvo 2,4, o placebo vartojusių pacientų grupėje – 0,5. Tai rodo, kad per metus pacientų motoriniai gebėjimai pagerėjo (pavyzdžiui, pasikeitė laikysena arba pagerėjo rankos judesiai).

Su Itvisma atlikti tyrimai išsamiau aprašyti vaisto vertinimo protokole.

Koks yra Itvisma šalutinis poveikis ir kokie yra jo vartojimo apribojimai?

Išsamų visų Itvisma šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Itvisma šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra viršutinių kvėpavimo takų infekcija (nosies ir gerklės infekcija), karščiavimas, vėmimas ir galvos skausmas. Kitas dažnas šalutinis poveikis (galintis pasireikšti rečiau kaip 1 žmogui iš 10) yra padidėjęs kepenų fermentų kiekis.

Kai kurie šalutinio poveikio reiškiniai gali būti sunkūs. Dažniausias sunkus šalutinis poveikis (galintis pasireikšti rečiau kaip 1 žmogui iš 10) yra vėmimas, padidėjęs kepenų fermentų kiekis, galvos skausmas ir karščiavimas.

Kodėl Itvisma buvo registruotas ES?

Nustatyta, kad, vartojant Itvisma, kliniškai reikšmingai pagerėja 2 metų ir vyresnių pacientų (vaikų, paauglių ir suaugusiųjų), sergančių SRA, motorinė funkcija. Šio vaisto sukeliama šalutiniai reiškiniai buvo panašūs į sukeliamus kito vaisto, kurio sudėtyje yra tos pačios veikliosios medžiagos, ir nuspręsta, kad juos galima kontroliuoti. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Itvisma nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Itvisma vartojimą?

Itvisma prekiaujanti bendrovė sveikatos priežiūros specialistams, pacientams ir slaugytojams pateiks mokomąją medžiagą su informacija apie SRA, apie tai, kaip saugiai vartoti šį vaistą, apie su šiuo vaistu susijusią riziką ir kaip nustatyti šalutinį poveikį ir apie jį pranešti.

Šią medžiagą nacionalinės kompetentingos institucijos gali paskelbti savo interneto svetainėse. Nacionalinių duomenų registų sąrašą galima rasti [EMA svetainėje](#).

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Itvisma vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Itvisma vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Itvisma šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Itvisma

Itvisma registruotas visoje ES.

Daugiau informacijos apie Itvisma, įskaitant pakuotės lapelį ir vertinimo protokolą, rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Norėdami sužinoti, ar šis vaistas prieinamas jūsų šalyje, kreipkitės į savo [nacionalinę kompetentingą instituciją](#).