



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogēna abeparvoveks*)

Pārskats vienkāršā valodā par *Itvisma* un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Itvisma* un kāpēc tās lieto?

Itvisma ir gēnu terapijas zāles mugurkaula muskuļu atrofijas (*SMA*) ārstēšanai. Tā ir nopietna nervu šūnu (neironu) slimība, kas izraisa muskuļu izdilšanu un vājumu cilvēkiem no divu gadu vecuma ar iedzimtām mutācijām (izmaiņām) SMN1 gēnā.

SMA ir reta slimība, un 2015. gada 19. jūnijā *Itvisma* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma satur aktīvo vielu onasemnogēna abeparvoveku.

Kā lieto *Itvisma*?

Itvisma var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi *SMA* ārstēšanā.

Zāles ir pieejamas kā injekciju šķīdums. Tās ievada tikai vienreiz intratekālas injekcijas veidā (muguras lejasdaļā, tieši šķīdumā ap muguras smadzenēm) slimnīcā, un to dara ārsts ar pieredzi šīs procedūras veikšanā. Pirms *Itvisma* lietošanas pacientiem var būt nepieciešama sedācija (nomierinošu zāļu lietošana).

Pacienti saņems arī prednizolonu (vai citu kortikosteroīdu) iekšķīgi 24 stundas pirms *Itvisma* lietošanas. Ikdienas kortikosteroīdu terapija ilgs aptuveni divus mēnešus pēc *Itvisma* devas ievadīšanas vai līdz pacienta aknu enzīmu līmenis samazināsies līdz pieņemamam līmenim. Ārsts pakāpeniski samazinās kortikosteroīdu devu, līdz to varēs pilnībā pārtraukt.

Papildu informāciju par *Itvisma* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Itvisma* darbojas?

SMA pacientiem ir gēna, ko dēvē par SMN1, defekts, kas organismā nepieciešams, lai producētu olbaltumvielu, kas ir būtiska apakšējo motorneironu — muguras smadzeņu nervu šūnu, kas kontrolē muskuļu kustības, — izdzīvošanai un normālai darbībai. *Itvisma* aktīvā viela onasemnogēna abeparvoveks satur šā gēna funkcionējošu kopiju. Injicējot tas nonāk motoneironos no vietas, kur tas

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



nodrošina pareizu gēnu, lai producētu pietiekami daudz olbaltumvielas un tādējādi uzlabotu motorisko funkciju.

Kādi *Itrisma* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā, iesaistot 126 bērnus ar *SMA* vecumā no diviem līdz 18 gadiem, kuri iepriekš nebija ārstēti ar citām *SMA* zālēm un kuri spēja sēdēt, bet nespēja patstāvīgi staigāt, tika pierādīts, ka *Itrisma* efektīvi uzlabo motorisko funkciju, salīdzinot ar placebo (fiktīvu injekciju).

Galvenais efektivitātes rādītājs bija motoriskās funkcijas izmaiņas, kas novērtētas skalā *HFMSE* (*Hammersmith* funkcionālā motoriskā skala — paplašināta) vienu gadu pēc *Itrisma* lietošanas. Pacientiem, kuri saņēma *Itrisma*, *HFMSE* rādītājs bija 2,4 salīdzinājumā ar 0,5 pacientiem, kuri saņēma placebo. Tas norāda uz motorisko spēju uzlabošanos ārstētajiem pacientiem pēc viena gada, piemēram, izmaiņas stājā vai roku kustību.

Pētījumi, kas veikti ar *Itrisma*, ir sīkāk aprakstīti zāļu novērtējuma ziņojumā.

Kādas ir *Itrisma* blakusparādības un ierobežojumi?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Itrisma*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Itrisma* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir augšējo elpceļu infekcija (deguna un rīkles infekcija), drudzis, vemšana un galvassāpes. Citas bieži sastopamas blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir paaugstināts aknu enzīmu līmenis.

Dažas blakusparādības var būt nopietnas. Visbiežākās blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir vemšana, paaugstināts aknu enzīmu līmenis, galvassāpes un drudzis.

Kāpēc *Itrisma* ir reģistrētas ES?

Ir pierādīts, ka *Itrisma* nodrošina klīniski nozīmīgus motoriskās funkcijas uzlabojumus pacientiem no divu gadu vecuma (bērniem, pusaudžiem un pieaugušajiem) ar *SMA*. Blakusparādības bija līdzīgas citu tādu zāļu blakusparādībām, kas satur to pašu aktīvo vielu, un tika uzskatītas par kontrolējamām. Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Itrisma*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Itrisma* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Itrisma*, veselības aprūpes speciālistiem, pacientiem un aprūpētajiem nodrošinās izglītojošus materiālus ar informāciju par *SMA*, par zāļu drošu lietošanu, ar zālēm saistītajiem riskiem un par to, kā identificēt blakusparādības un ziņot par tām.

Šos materiālus valstu kompetentās iestādes var darīt pieejamus savās tīmekļa vietnēs. Nacionālo repozitoriju saraksts ir pieejams [EMA tīmekļa vietnē](#).

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Itrisma* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Itrisma* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Itrisma* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Itvisma*

[..] *Itvisma* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Itvisma*, tostarp lietošanas instrukcija un novērtējuma ziņojums ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Lai iegūtu informāciju par šo zāļu pieejamību jūsu valstī, sazinieties ar attiecīgās [valsts kompetento iestādi](#).