



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogene abeparvovec*)

Ħarsa ġenerali b'lingwaġgħ sempliċi lejn Itvisma u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Itvisma u għal xiex jintuża?

Itvisma huwa mediċina ta' terapija tal-ġeni għat-trattament ta' atrofiya muskolari tas-sinsla (SMA, early muscular atrofiya), kundizzjoni serja taċ-ċelloli tan-nervituri (newroni) li tikkawża telf u dgħufija tal-muskoli, f'persuni mill-età ta' sentejn b'mutazzjonijiet li jintirtu (bidliet) fil-ġene SMN1.

L-SMA hija rari, u Itvisma ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fid-19 ta' Ġunju 2015. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma fih is-sustanza attiva onasemnogene abeparvovec.

Kif jintuża Itvisma?

Itvisma jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jinbeda, jingħata u jiġi ssorveljat minn tabib b'esperjenza fit-trattament ta' SMA.

Il-mediċina tiġi bħala soluzzjoni għall-injezzjoni. Jingħata darba biss permezz ta' injezzjoni intratekali (fin-naħa t'isfel tad-dahar, direttament fil-fluwidu madwar is-sinsla tad-dahar) f'ambjent ta' spart minn tabib b'esperjenza fit-twettiq ta' din il-proċedura. Il-pazjenti jista' jkollhom bżonn jiġu sedazzjoni (jingħataw mediċina biex jikkalmaw) qabel ma jingħataw Itvisma.

Il-pazjenti se jingħataw ukoll prednisolone (jew kortikosteroidi ieħor) mill-ħalq, 24 siegħa qabel ma jirċievu Itvisma. It-trattament b'kortikosteroidi ta' kuljum se jdum madwar xahrejn wara d-doża ta' Itvisma, jew sakemm il-livelli tal-enzimi tal-fwied tal-pazjent jonqsu għal livell aċċettabbli. It-tabib inaqas bil-mod id-doża tal-kortikosteroidi sakemm din tkun tista' titwaqqaf kompletament.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Itvisma, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Itvisma?

Il-pazjenti b'SMA għandhom difett f'ġene msejjaħ SMN1, li l-ġisem jeħtieġ biex jagħmel proteina essenzjali għas-sopravivenza u l-funzjonament normali ta' motonewroni aktar baxxi, iċ-ċelloli tan-

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



nervituri mis-sinsla tad-dahar li jikkontrollaw il-movimenti muskolari. Is-sustanza attiva f'Itvisma, l-onasemnogene abeparvovec, fiha kopja funzjonali ta' dan il-gene. Meta jiġi injettat, jgħaddi fil-motoneuroni minn fejn jipprovdi l-gene korrett biex jagħmel biżżejjed mill-proteina u b'hekk itejjeb il-funzjoni motorja.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Itvisma li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni li kien jinvolvi 126 tifel u tifla b'SMA ta' bejn sentejn u inqas minn 18-il sena, li ma kinux ġew ittrattati qabel b'mediċini SMA oħra u li setgħu joqogħdu bilqiegħda iżda li qatt ma setgħu jimxu b'mod indipendenti, wera li Itvisma huwa effettiv biex itejjeb il-funzjoni motorja meta mqabbel ma' placebo (injezzjoni finta).

Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fil-funzjoni motorja vvalutata bi skala msejha HFMSE (skala funzjonali tal-muturi ta' Hammersmith – estiża) sena wara li ngħatat Itvisma. Il-bidla fil-punteġġ tal-HFMSE kienet ta' 2.4 f'pazjenti li ngħataw Itvisma, meta mqabbla ma' 0.5 f'dawk li ngħataw placebo. Dan jindika titjib tal-kapaċitajiet motorji, bħat-tibdil fil-qagħda jew iċ-ċaqliq tad-dirgħajn, fil-pazjenti ttrattati wara sena.

L-istudji li saru b'Itvisma huma deskritti f'aktar dettall fir-rapport ta' valutazzjoni tal-mediċina.

X'inhuma l-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Itvisma?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Itvisma, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Itvisma (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu infezzjoni fl-apparat respiratorju ta' fuq (infezzjoni fl-immnieher u fil-grizmejn), deni, rimettar u wġiġh ta' ras. Effetti sekondarji komuni oħrajn (li jistgħu jaffettwaw sa persuna 1 minn kull 10) huma żieda fil-livelli tal-enzimi tal-fwied.

Xi effetti sekondarji jistgħu jkunu serji. L-aktar frekwenti (li jistgħu jaffettwaw sa persuna 1 minn kull 10) jinkludu rimettar, żieda fil-livelli ta' enzimi tal-fwied, uġiġh ta' ras u deni.

Għaliex Itvisma ġie awtorizzat fl-UE?

Itvisma ntwera li jwassal għal titjib klinikament sinifikanti fil-funzjoni motorja f'pazjenti minn sentejn 'il fuq (tfal, adolexxenti u adulti) b'SMA. L-effetti sekondarji kienu simili għal dawk b'mediċina oħra li fiha l-istess sustanza attiva u kienu kkunsidrati maniġġabbli. Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Itvisma huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Itvisma?

Il-kumpanija li tqiegħed Itvisma fis-suq se tipprovdi materjal edukattiv lill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa, lill-pazjenti u lil dawk li jieħdu ħsiebhom b'informazzjoni dwar l-SMA, kif jużaw il-mediċina b'mod sigur, ir-riskji assoċjati mal-mediċina u kif jidentifikaw u jirrapportaw l-effetti sekondarji.

Dawn il-materjali se jkunu disponibbli mill-awtoritajiet nazzjonali kompetenti fuq is-siti web tagħhom. Lista ta' repożitorji nazzjonali hija disponibbli fuq is-sit [web tal-EMA](#).

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inkluzi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Itvisma.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Itvisma hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Itvisma huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Itvisma

Itvisma rċieva awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fi.

Aktar informazzjoni dwar Itvisma, inkluż il-fuljett ta' tagħrif u r-rapport ta' valutazzjoni, tinstab fis-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Għal informazzjoni dwar id-disponibbiltà ta' din il-mediċina f'pajjiżek, ikkuntattja lill-[awtorità nazzjonali kompetent](#) tiegħek.