



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogen abeparwówek*)

Przegląd wiedzy na temat leku Itvisma i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE w przystępnym języku

Czym jest lek Itvisma i w jakim celu się go stosuje

Itvisma jest lekiem terapii genowej stosowanym w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni (ang. *spinal muscular atrophy*, SMA), poważnego schorzenia komórek nerwowych (neuronów), które powoduje wyniszczenie i osłabienie mięśni, u osób w wieku od 2 lat z dziedzicznymi mutacjami (zmianami) w genie SMN1.

Ze względu na to, że SMA jest chorobą rzadko występującą, w dniu 19 czerwca 2015 r. lek Itvisma uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji o przyznaniu statusu leku sierocego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Substancją czynną zawartą w leku Itvisma jest onasemnogen abeparwówek.

Jak stosować lek Itvisma

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać, podawać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu SMA.

Lek jest dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań. Lek podaje się jednorazowo we wstrzyknięciu dooponowym (w dolną część pleców, bezpośrednio do płynu otaczającego rdzeń kręgowy) w warunkach szpitalnych przez lekarza mającego doświadczenie w wykonywaniu tego zabiegu. Przed podaniem leku Itvisma pacjenci mogą potrzebować sedacji (podania leku uspokajającego).

Pacjentom podaje się również prednizolon (lub inny kortykosteroid) doustnie, 24 godziny przed otrzymaniem leku Itvisma. Codzienne leczenie kortykosteroidami będzie trwało przez około 2 miesiące po podaniu dawki leku Itvisma lub do czasu obniżenia stężenia enzymów wątrobowych pacjenta do dopuszczalnego poziomu. Lekarz będzie stopniowo zmniejszał dawkę kortykosteroidu aż do całkowitego zakończenia leczenia.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Itvisma znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



Jak działa lek Itvisma

U pacjentów z SMA występuje wada genu o nazwie SMN1, który organizm potrzebuje do wytwarzania białka niezbędnego do przeżycia i prawidłowego funkcjonowania dolnych neuronów ruchowych – komórek nerwowych w rdzeniu kręgowym kontrolujących ruchy mięśni. Substancja czynna leku Itvisma, onasemnogen abeparwówek, zawiera funkcjonalną kopię tego genu. Po podaniu we wstrzyknięciu substancja czynna przenika do neuronów ruchowych, gdzie dostarcza prawidłową kopię genu, umożliwiając wytwarzanie odpowiedniej ilości białka, a tym samym poprawę funkcji ruchowych.

Korzyści ze stosowania leku Itvisma wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 126 dzieci z SMA w wieku od 2 do poniżej 18 lat, które wcześniej nie otrzymywały innych leków stosowanych w SMA oraz potrafiły samodzielnie siedzieć, ale nigdy samodzielnie nie chodziły, wykazano, że lek Itvisma skutecznie poprawia funkcje ruchowe w porównaniu z placebo (wstrzyknięciem pozorowanym).

Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana funkcji ruchowych oceniana za pomocą Rozszerzonej Skali Sprawności Motorycznej Hammersmith (ang. *Hammersmith Functional Motor Scale – Expanded*, HFMSE) po upływie 1 roku od otrzymania leku Itvisma. Zmiana wyniku w skali HFMSE wyniosła 2,4 punktu u pacjentów otrzymujących lek Itvisma, w porównaniu z 0,5 punktu u pacjentów otrzymujących placebo. Wyniki te wskazują na poprawę zdolności ruchowych, takich jak zmiana pozycji ciała czy poruszanie ramionami, u leczonych pacjentów po roku od podania leku.

Badania dotyczące leku Itvisma opisano bardziej szczegółowo w sprawozdaniu oceniającym lek.

Działania niepożądane i ograniczenia związane ze stosowaniem leku Itvisma

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Itvisma znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Itvisma (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: zakażenie górnych dróg oddechowych (zakażenie nosa i gardła), gorączka, wymioty i ból głowy. Inne częste działania niepożądane (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to podwyższone stężenie enzymów wątrobowych.

Niektóre działania niepożądane mogą być poważne. Najczęstsze poważne działania niepożądane (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: wymioty, podwyższony poziom enzymów wątrobowych, ból głowy i gorączka.

Podstawy dopuszczenia leku Itvisma do obrotu w UE

Wykazano, że lek Itvisma prowadzi do klinicznie istotnej poprawy funkcji ruchowych u pacjentów w wieku od 2 lat z SMA (dzieci, młodzieży i dorosłych). Działania niepożądane były podobne do obserwowanych w przypadku innego leku zawierającego tę samą substancję czynną i zostały uznane za możliwe do opanowania. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści ze stosowania leku Itvisma przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Itvisma

Firma, która wprowadza lek Itvisma do obrotu, przekaże materiały edukacyjne dla personelu medycznego, pacjentów i opiekunów, zawierające informacje na temat SMA, bezpiecznego stosowania leku, zagrożeń związanych z lekiem oraz sposobów identyfikacji i zgłaszania działań niepożądanych.

Materiały te mogą zostać udostępnione przez właściwe organy krajowe na ich stronach internetowych. Wykaz repozytoriów krajowych jest dostępny na [stronie internetowej EMA](#).

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Itvisma w charakterystyce produktu leczniczego i w ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Itvisma są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Itvisma są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje o leku Itvisma

Lek Itvisma otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia jego wydania.

Dalsze informacje o leku Itvisma, w tym ulotka dla pacjenta i sprawozdanie oceniające, znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

W celu uzyskania informacji o dostępności tego leku w danym kraju należy skontaktować się z [właściwym organem krajowym](#).