



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogene abeparvovec*)

Um resumo em linguagem simples sobre Itvisma e porque está autorizado na UE

O que é Itvisma e para que é utilizado?

Itvisma é um medicamento de terapia genética para o tratamento da atrofia muscular espinal (AME), uma doença grave das células nervosas (neurónios) que causa fraqueza e definhamento muscular em pessoas a partir dos 2 anos de idade com mutações (alterações) hereditárias no gene SMN1.

A AME é uma doença rara, e Itvisma foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 19 de junho de 2015. Estão disponíveis mais informações sobre a designação de medicamento órfão aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma contém a substância ativa onasemnogene abeparvovec.

Como se utiliza Itvisma?

Itvisma só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado, administrado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento da AME.

O medicamento está disponível na forma de solução injetável. É administrado apenas uma vez por injeção intratecal (na parte inferior das costas, diretamente no líquido que envolve a medula espinal) num contexto hospitalar por um médico com experiência na execução deste procedimento. Pode ser necessária a sedação dos doentes (a administração de um medicamento calmante) antes da administração de Itvisma.

Os doentes também receberão prednisolona (ou outro corticosteroide), por via oral, 24 horas antes de receber Itvisma. O tratamento diário com corticosteroides durará cerca de 2 meses após a dose de Itvisma, ou até que os níveis de enzimas hepáticas do doente diminuam para um nível aceitável. O médico reduzirá lentamente a dose de corticosteroide até que esta possa ser totalmente interrompida.

Para mais informações sobre a utilização de Itvisma, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

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



Como funciona Itvisma?

Os doentes com AME apresentam um defeito num gene denominado SMN1, de que o organismo necessita para produzir uma proteína essencial para a sobrevivência e o funcionamento normal dos neurónios motores inferiores, as células nervosas da medula espinal que controlam os movimentos musculares. A substância ativa em Itvisma, onasemnogene abeparvovec, contém uma cópia funcional deste gene. Quando injetada, passa para os neurónios motores a partir dos quais fornece o gene correto para produzir proteína em quantidade suficiente, melhorando assim a função motora.

Quais os benefícios demonstrados por Itvisma durante os estudos?

Um estudo principal que incluiu 126 crianças com AME com idades compreendidas entre os 2 e os 18 anos, que não tinham sido tratadas anteriormente com outros medicamentos para a AME e que conseguiam sentar-se mas que nunca tinham conseguido andar de forma autónoma, demonstrou que Itvisma é eficaz na melhoria da função motora, em comparação com um placebo (uma injeção simulada).

O principal parâmetro de eficácia foi a alteração da função motora avaliada com uma escala denominada HFMSE (Escala Motora Funcional de Hammersmith Expandida) 1 ano após a receção de Itvisma. A alteração na pontuação HFMSE foi de 2,4 nos doentes que receberam Itvisma, em comparação com 0,5 nos doentes que receberam o placebo. Isto indica uma melhoria das capacidades motoras, como mudar a postura ou movimentar os braços, nos doentes tratados após um ano.

Os estudos realizados com Itvisma são descritos de forma mais pormenorizada no relatório de avaliação do medicamento.

Quais são os efeitos secundários e as restrições de utilização de Itvisma?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Itvisma, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Itvisma (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem infeção do trato respiratório superior (infeção do nariz e da garganta), febre, vómitos e dor de cabeça. Outros efeitos secundários frequentes (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) são o aumento dos níveis de enzimas hepáticas.

Alguns efeitos secundários podem ser graves. Os mais frequentes (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) incluem vómitos, aumento dos níveis de enzimas hepáticas, dores de cabeça e febre.

Porque está Itvisma autorizado na UE?

Itvisma demonstrou conduzir a melhorias clinicamente significativas na função motora em doentes com idade igual ou superior a 2 anos (crianças, adolescentes e adultos) com AME. Os efeitos secundários foram semelhantes aos de outro medicamento que contém a mesma substância ativa e foram considerados controláveis. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Itvisma são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Itvisma?

A empresa que comercializa Itvisma fornecerá materiais educacionais aos profissionais de saúde, aos doentes e aos cuidadores com informações sobre a AME, como utilizar o medicamento em segurança, os riscos associados ao medicamento e como identificar e comunicar efeitos secundários.

Estes materiais podem ser disponibilizados pelas autoridades nacionais competentes nos respetivos sítios Web. Uma lista dos repositórios nacionais está disponível no [sítio Web da EMA](#).

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Itvisma.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Itvisma são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Itvisma são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Itvisma

A <data de emissão da Autorização de Introdução no Mercado>, Itvisma recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre Itvisma, incluindo o Folheto Informativo e o relatório de avaliação, no sítio Web da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Para obter informações sobre a disponibilidade deste medicamento no seu país, contacte a sua [autoridade nacional competente](#).