



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogen abeparvovec*)

Prezentare generală în limbaj simplu a Itvisma și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Itvisma și pentru ce se utilizează?

Itvisma este un medicament utilizat în terapie genică pentru tratarea atrofiei musculare spinale (AMS), o afecțiune gravă a celulelor nervoase (neuroni) care cauzează atrofie și slăbiciune musculară, la persoane cu vârsta de cel puțin 2 ani cu mutații (modificări) ereditare ale genei SMN1.

AMS este rară, iar Itvisma a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 19 iunie 2015. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma conține substanța activă onasemnogen abeparvovec.

Cum se utilizează Itvisma?

Itvisma se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat, administrat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul AMS.

Medicamentul este disponibil sub formă de soluție injectabilă. Se administrează doar o dată prin injecție intratecală (în partea de jos a spatelui, direct în lichidul care înconjoară măduva spinării) într-un mediu spitalicesc, de către un medic cu experiență în efectuarea acestei proceduri. Poate fi necesar ca pacienții să fie sedați (să primească un medicament pentru calmare) înainte de a li se administra Itvisma.

Pacienților li se va administra și prednisolon (sau alt corticosteroid) pe cale orală, cu 24 de ore înainte de a li se administra Itvisma. Tratamentul zilnic cu corticosteroizi va dura aproximativ 2 luni de la administrarea dozei de Itvisma sau până când nivelul enzimelor hepatice ale pacientului scade până la valori acceptabile. Medicul va reduce treptat doza de corticosteroid până când tratamentul poate fi întrerupt definitiv.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Itvisma, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

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



Cum acționează Itvisma?

Pacienții cu AMS au un defect al genei numite SMN1, necesară organismului pentru a produce o proteină esențială pentru supraviețuirea și funcționarea normală a neuronilor motori inferiori, celulele nervoase din măduva spinării care controlează mișcările musculare. Substanța activă din Itvisma, onasemnogen abeparvovec, conține o copie funcțională a acestei gene. Când este injectată, aceasta trece în neuronii motori din care furnizează gena corectă necesară pentru producerea unei cantități suficiente de proteină, îmbunătățind astfel funcția motorie.

Ce beneficii a prezentat Itvisma pe parcursul studiilor?

Un studiu principal care a cuprins 126 de copii și adolescenți cu AMS, cu vârsta cuprinsă între 2 și sub 18 ani, care nu fuseseră tratați anterior cu alte medicamente pentru AMS și care puteau sta în șezut, dar nu puteau să meargă niciodată independent, a arătat că Itvisma este eficace în îmbunătățirea funcției motorii în comparație cu placebo (injecție simulată).

Principalul indicator al eficacității a fost modificarea funcției motorii evaluată pe o scară numită HFMSE (Scala Hammersmith de evaluare a funcției motorii, forma extinsă) după 1 an de la administrarea Itvisma. Modificarea scorului HFMSE a fost de 2,4 la pacienții cărora li s-a administrat Itvisma, față de 0,5 la cei cărora li s-a administrat placebo. Acest lucru indică o îmbunătățire a capacităților motorii, cum ar fi schimbarea posturii sau mișcarea brațelor, la pacienții tratați după un an.

Studiile efectuate cu Itvisma sunt descrise mai detaliat în raportul de evaluare a medicamentului.

Care sunt reacțiile adverse și restricțiile asociate cu Itvisma?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Itvisma, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Itvisma (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt infecții ale căilor respiratorii superioare (infecții ale nasului și gâtului), febră, vărsături și dureri de cap. Alte reacții adverse frecvente (care pot afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt valori crescute ale enzimelor hepatice.

Unele reacții adverse pot fi grave. Cele mai frecvente (care pot afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt vărsături, valori crescute ale enzimelor hepatice, dureri de cap și febră.

De ce a fost autorizat Itvisma în UE?

S-a demonstrat că Itvisma duce la îmbunătățiri semnificative clinic ale funcției motorii la pacienții cu vârsta de cel puțin 2 ani (copii, adolescenți și adulți) cu AMS. Reacțiile adverse au fost similare cu cele asociate cu alt medicament care conține aceeași substanță activă și au fost considerate gestionabile terapeutic. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Itvisma sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Itvisma?

Compania care comercializează Itvisma va furniza personalului medical, pacienților și îngrijitorilor materiale educaționale care conțin informații despre AMS, modul de utilizare a medicamentului în condiții de siguranță, riscurile asociate medicamentului și modul de identificare și raportare a reacțiilor adverse.

Aceste materiale pot fi puse la dispoziție de autoritățile naționale competente pe site-urile lor. Lista registrelor naționale este disponibilă pe [site-ul EMA](https://www.ema.europa.eu).

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Itvisma, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Itvisma sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Itvisma sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Itvisma

Itvisma a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la data de

Mai multe informații despre Itvisma, inclusiv prospectul și raportul de evaluare, se pot găsi pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Pentru informații despre disponibilitatea acestui medicament în țara dumneavoastră, contactați [autoritatea națională competentă](#).