



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogén abeparvovek*)

Prehľad o lieku Itvisma v zrozumiteľnom jazyku a prečo bol liek v EÚ povolený

Čo je liek Itvisma a na čo sa používa?

Itvisma je liek na génovú terapiu na liečbu spinálnej muskulárnej atrofie (SMA), závažného ochorenia nervových buniek (neurónov), ktoré spôsobuje stratu a slabosť svalov u osôb vo veku od 2 rokov s dedičnými mutáciami (zmenami) v géne SMN1.

SMA je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Itvisma 19. júna 2015 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Liek Itvisma obsahuje liečivo onasemnogén abeparvovek.

Ako sa liek Itvisma používa?

Výdaj lieku Itvisma je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať, podávať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou SMA.

Liek je dostupný vo forme injekčného roztoku. Podáva sa iba raz intratekálnou injekciou (v dolnej časti chrbta, priamo do tekutiny okolo miechy) v nemocničnom prostredí, a to lekárom, ktorý má skúsenosti s vykonávaním tohto zákroku. Pacienti možno budú musieť pred podaním lieku Itvisma podstúpiť sedáciu (podá sa im liek, ktorý ich upokojí).

Pacientom sa podá aj prednizolón (alebo iný kortikosteroid) perorálne, 24 hodín pred podaním lieku Itvisma. Denná liečba kortikosteroidmi bude trvať približne 2 mesiace po podaní dávky lieku Itvisma alebo kým hladina pečeňových enzýmov pacienta neklesne na prijateľnú úroveň. Lekár bude dávku kortikosteroidu pomaly znižovať, až kým sa podávanie úplne neukončí.

Viac informácií o používaní lieku Itvisma si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Itvisma účinkuje?

Pacienti s SMA majú poruchu génu nazývaného SMN1, ktorý telo potrebuje na vytvorenie proteínu nevyhnutného na prežitie a normálne fungovanie dolných motorických neurónov, nervových buniek

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



miechy, ktoré riadia pohyby svalov. Liečivo lieku Itvisma, onasemnogén abeparvovek, obsahuje funkčnú kópiu tohto génu. Po injekčnom podaní liečivo prechádza do motorických neurónov, kde dodáva správny gén na vytvorenie dostatočného množstva proteínu, a tým zlepšuje motorickú funkciu.

Aký prínos lieku Itvisma sa preukázal v štúdiách?

V hlavnej štúdii zahŕňajúcej 126 detí s SMA vo veku od 2 do menej ako 18 rokov, ktoré neboli predtým liečené inými liekmi na SMA a ktoré boli schopné sedieť, ale nikdy neboli schopné samostatne chodiť, sa preukázalo, že liek Itvisma je v porovnaní s placebom (simulovanou injekciou) účinný pri zlepšovaní motorickej funkcie.

Hlavným meradlom účinnosti bola zmena motorickej funkcie hodnotená podľa Hammersmithovej rozšírenej funkčnej motorickej škály (Hammersmith Functional Motor Scale – Expanded, HFMSE) jeden rok po podaní lieku Itvisma. Zmena v skóre HFMSE bola 2,4 u pacientov, ktorí dostávali liek Itvisma, v porovnaní s 0,5 u pacientov, ktorí dostávali placebo. To naznačuje zlepšenie motorických schopností u liečených pacientov po roku liečby, ako je zmena polohy tela alebo pohyb ramien.

Štúdie uskutočnené s liekom Itvisma sú podrobnejšie opísané v hodnotiacej správe o lieku.

Aké sú vedľajšie účinky lieku Itvisma a obmedzenia pri používaní?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Itvisma a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Itvisma (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú infekcia horných dýchacích ciest (infekcia nosa a hrdla), horúčka, vracanie a bolesť hlavy. Ďalšie časté vedľajšie účinky (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú zvýšená hladina pečeňových enzýmov.

Niektoré vedľajšie účinky môžu byť závažné. Najčastejšie (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú vracanie, zvýšená hladina pečeňových enzýmov, bolesť hlavy a horúčka.

Prečo bol liek Itvisma povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Itvisma vedie ku klinicky významným zlepšeniam motorickej funkcie u pacientov vo veku od 2 rokov (detí, dospievajúcich a dospelých) s SMA. Vedľajšie účinky boli podobné ako v prípade iného lieku obsahujúceho rovnaké liečivo a považovali sa za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínos lieku Itvisma prevyšuje riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Itvisma?

Spoločnosť, ktorá liek Itvisma uvádza na trh, poskytne zdravotníckym pracovníkom, pacientom a opatrovateľom vzdelávacie materiály s informáciami o SMA, o tom, ako používať liek bezpečne, o rizikách spojených s liekom a o tom, ako identifikovať a hlásiť vedľajšie účinky.

Tieto materiály sprístupnia príslušné vnútroštátne orgány na svojich webových stránkach. Zoznam týchto vnútroštátnych zdrojov je k dispozícii na [webovej stránke agentúry EMA](#).

Na bezpečné a účinné používanie lieku Itvisma boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Itvisma sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Itvisma sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Itvisma

Lieku Itvisma bolo dňa udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Itvisma vrátane písomnej informácie pre používateľa a hodnotiacej správy sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Ak potrebujete informácie o dostupnosti tohto lieku vo svojej krajine, obráťte sa na svoj [príslušný vnútroštátny orgán](#).