



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogen abeparvovek*)

Povzetek informacij o zdravilu Itvisma v preprostem jeziku in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Itvisma in za kaj se uporablja?

Itvisma je zdravilo za gensko zdravljenje spinalne mišične atrofije (SMA), tj. resnega stanja živčnih celic (nevronov), ki povzroča razgradnjo in oslabelost mišic, pri ljudeh, starejših od dveh let, z dednimi mutacijami (spremembami) v genu SMN1.

Spinalna mišična atrofija (SMA) je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Itvisma 19. junija 2015 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Zdravilo Itvisma vsebuje učinkovino onasemnogen abeparvovek.

Kako se zdravilo Itvisma uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Itvisma je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti, dajati in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem SMA.

Na voljo je v obliki raztopine za injiciranje. Zdravilo se v bolnišnici daje samo enkrat z intratekalno injekcijo (v spodnji del hrbta, neposredno v tekočino okoli hrbtenjače), pri čemer jo daje zdravnik, ki ima izkušnje z izvajanjem tega postopka. Preden bolniki prejmejo zdravilo Itvisma, bodo morda morali prejeti pomirjevalo (zdravilo za umirjanje).

Bolniki bodo 24 ur pred jemanjem zdravila Itvisma peroralno prejeli tudi prednizolon (ali drug kortikosteroid). Dnevno zdravljenje s kortikosteroidi bo trajalo približno dva meseca po odmerku zdravila Itvisma ali dokler se ravni jetrnih encimov pri bolniku ne znižajo na sprejemljivo raven. Zdravnik bo počasi zmanjševal odmerek kortikosteroida, dokler ga ne bo mogoče popolnoma ukiniti.

Za več informacij glede uporabe zdravila Itvisma glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Itvisma deluje?

Bolniki s SMA imajo okvaro v genu, imenovanem SMN1, ki ga telo potrebuje za tvorbo beljakovine, ki je nujna za preživetje in normalno delovanje spodnjih motoričnih nevronov, tj. živčnih celic v

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



hrbtenjači, ki nadzorujejo mišične gibe. Učinkovina v zdravilu Itvisma, onasemnogen abeparvovek, vsebuje funkcionalno kopijo tega gena. Po injiciranju preide v motorične nevrone, od koder zagotavlja pravi gen, da se proizvede dovolj beljakovine in tako izboljša motorična funkcija.

Kakšne koristi zdravila Itvisma so se pokazale v študijah?

Glavna študija, v katero je bilo vključenih 126 otrok s SMA, starih od dve do manj kot 18 let, ki predhodno niso bili zdravljeni z drugimi zdravili za SMA in so lahko sedeli, vendar nikoli niso mogli samostojno hoditi, je pokazala, da je zdravilo Itvisma učinkovito pri izboljšanju motorične funkcije v primerjavi s placebom (injekcijo brez učinkovine).

Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba motorične funkcije, ocenjena na lestvici HFMSE (Hammersmith functional motoric scale – expanded) eno leto po prejemu zdravila Itvisma. Sprememba ocene HFMSE je pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Itvisma, znašala 2,4, pri bolnikih, ki so prejeli placebo, pa 0,5. To kaže na izboljšanje motoričnih sposobnosti, kot je sprememba drže ali premikanje rok, pri zdravljenih bolnikih po enem letu.

Študije, izvedene z zdravilom Itvisma, so podrobneje opisane v poročilu o oceni zdravila.

Kakšni so neželeni učinki in omejitve pri uporabi zdravila Itvisma?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Itvisma glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Itvisma (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 oseb) so okužba zgornjih dihal (okužba nosu in grla), zvišana telesna temperatura, bruhanje in glavobol. Drugi pogosti neželeni učinki (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 oseb) so zvišane ravni jetrnih encimov.

Nekateri neželeni učinki so lahko resni. Najpogostejši neželeni učinki (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 oseb) so bruhanje, zvišane ravni jetrnih encimov, glavobol in zvišana telesna temperatura.

Zakaj je bilo zdravilo Itvisma odobreno v EU?

Dokazano je bilo, da zdravilo Itvisma privede do klinično pomembnih izboljšav motorične funkcije pri bolnikih s SMA, starih dve leti in več (otročih, mladostnikih in odraslih). Neželeni učinki so bili podobni kot pri drugem zdravilu, ki vsebuje enako učinkovino, in so bili ocenjeni kot obvladljivi. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Itvisma večje od z njim povezanih tveganj in da se zdravilo lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Itvisma?

Podjetje, ki trži zdravilo Itvisma, bo zdravstvenim delavcem, bolnikom in negovalcem zagotovilo izobraževalno gradivo z informacijami o SMA, o varni uporabi zdravila, tveganjih, povezanih z zdravilom, ter o prepoznavanju neželenih učinkov in poročanju o njih.

To gradivo bodo pristojni nacionalni organi dali na voljo na svojih spletnih mestih. Seznam teh nacionalnih virov je na voljo na [spletišču agencije EMA](#).

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Itvisma upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Itvisma stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Itvisma, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Itvisma

Za zdravilo Itvisma je bilo XX. XX. XXXX izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije o zdravilu Itvisma, vključno z navodilom za uporabo in poročilom o oceni, so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Za informacije o razpoložljivosti tega zdravila v svoji državi se obrnite na [pristojni nacionalni organ](#).