



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*onasemnogen-abeparvovek*)

Sammanfattning på klarspråk av Itvisma och varför det är godkänt inom EU

Vad är Itvisma och vad används det för?

Itvisma är ett genterapiläkemedel för behandling av spinal muskelatrofi (SMA), en allvarlig sjukdom i nervcellerna (neuronerna) som orsakar muskelförtvining och muskelsvaghet, hos personer från 2 års ålder med ärftliga mutationer (förändringar) i SMN1-genen.

SMA är sällsynt och Itvisma klassificerades som säriläkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 19 juni 2015. Mer information om klassificeringen som säriläkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma innehåller den aktiva substansen onasemnogen-abeparvovek.

Hur används Itvisma?

Itvisma är receptbelagt och behandling ska inledas, ges och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla SMA.

Läkemedlet finns som en injektionsvätska, lösning. Det ges endast en gång genom intratekal injektion (i nedre delen av ryggen, direkt i vätskan runt ryggmärgen) på ett sjukhus av en läkare med erfarenhet av att genomföra detta förfarande. Patienterna kan behöva sederas (få ett lugnande läkemedel) innan de får Itvisma.

Patienterna kommer också att få prednisolon (eller en annan kortikosteroid) genom munnen, 24 timmar innan de får Itvisma. Den dagliga kortikosteroidbehandlingen kommer att pågå i cirka två månader efter dosen av Itvisma, eller tills patientens leverenzymnivåer sjunker till en acceptabel nivå. Läkaren kommer långsamt att minska kortikosteroiddosen tills den kan stoppas helt.

För mer information om hur du använder Itvisma, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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



Hur verkar Itvisma?

Patienter med SMA har en defekt i SMN1-genen, som kroppen behöver för att framställa ett protein som är nödvändigt för att de lägre motorneuronerna, de nervceller från ryggmärgen som kontrollerar muskelrörelser, ska kunna överleva och fungera normalt. Den aktiva substansen i Itvisma, onasemnogen-abeparvovek, innehåller en funktionell kopia av denna gen. När den injiceras passerar den in i motorneuronerna, varifrån den hämtar rätt gen för att producera tillräckligt med protein och därigenom förbättra den motoriska funktionen.

Vilka fördelar med Itvisma har visats i studierna?

En huvudstudie på 126 barn i åldern 2–18 år med SMA som inte tidigare behandlats med andra SMA-läkemedel och som kunde sitta men aldrig kunnat gå utan stöd visade att Itvisma är effektivt när det gäller att förbättra den motoriska funktionen jämfört med placebo (simulerad injektion).

Huvudeffekt måttet var förändringen av motorisk funktion, som bedömdes på skalan HFMSE (Hammersmiths funktionella motoriska skala – utvidgad) ett år efter att patienterna fått Itvisma. Förändringen av HFMSE-poängen var 2,4 hos de patienter som fick Itvisma, jämfört med 0,5 hos dem som fick placebo. Detta tyder på en förbättring av den motoriska förmågan hos de behandlade patienterna efter ett år, till exempel när det gäller att byta kroppsställning eller röra armarna.

De studier som utförts med Itvisma beskrivs närmare i läkemedlets utredningsprotokoll.

Vilka är biverkningarna och restriktionerna för Itvisma?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Itvisma finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Itvisma (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är övre luftvägsinfektion (infektion i näsa och svalg), feber, kräkningar och huvudvärk. Andra vanliga biverkningar (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är förhöjda nivåer av leverenzymmer.

Vissa biverkningar kan vara allvarliga. De vanligaste (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är kräkningar, förhöjda nivåer av leverenzymmer, huvudvärk och feber.

Varför är Itvisma godkänt i EU?

Itvisma har visat sig leda till kliniskt betydelsefulla förbättringar av den motoriska funktionen hos patienter från 2 års ålder (barn, ungdomar och vuxna) med SMA. Biverkningarna liknade dem som orsakas av ett annat läkemedel som innehåller samma aktiva substans och ansågs hanterbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Itvisma är större än riskerna och att Itvisma kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Itvisma?

Företaget som marknadsför Itvisma kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial till hälso- och sjukvårdspersonal, patienter och vårdgivare med information om SMA, hur läkemedlet används på ett säkert sätt, de risker som är förknippade med läkemedlet samt hur man identifierar och rapporterar biverkningar.

De nationella behöriga myndigheterna kan komma att göra detta material tillgängligt på sina webbplatser. En förteckning över nationella arkiv finns på [EMA:s webbplats](#).

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Itvisma har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Itvisma kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Itvisma utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Itvisma

Den <datum för utfärdande av godkännande för försäljning> beviljades Itvisma ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Itvisma, inklusive bipacksedeln och utredningsprotokollet, finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

För information om tillgången till detta läkemedel i ditt land, kontakta din [nationella behöriga myndighet](#).