

Ulotka dołączona do opakowania: informacja dla użytkownika

Itvisma $1,2 \times 10^{14}$ genomy wektora roztwór do wstrzykiwań onasemnogen abeparwówek

▼ Niniejszy produkt leczniczy będzie dodatkowo monitorowany. Umożliwi to szybkie zidentyfikowanie nowych informacji o bezpieczeństwie. Użytkownik leku też może w tym pomóc, zgłaszając wszelkie działania niepożądane, które wystąpiły po zastosowaniu leku. Aby dowiedzieć się, jak zgłaszać działania niepożądane – patrz punkt 4.

W przypadku opiekunów dzieci leczonych produktem leczniczym Itvisma, słowo „pacjent” używane w treści ulotki odnosi się do dziecka.

Należy uważnie zapoznać się z treścią ulotki przed otrzymaniem leku, ponieważ zawiera ona ważne informacje.

- Należy zachować tę ulotkę, aby w razie potrzeby móc ją ponownie przeczytać.
- W razie jakichkolwiek wątpliwości należy zwrócić się do lekarza lub pielęgniarki.
- Jeśli u pacjenta wystąpią jakiegokolwiek objawy niepożądane, w tym wszelkie objawy niepożądane niewymienione w tej ulotce, należy powiedzieć o tym lekarzowi lub pielęgniarce. Patrz punkt 4.

Spis treści ulotki

1. Co to jest lek Itvisma i w jakim celu się go stosuje
2. Informacje ważne przed otrzymaniem leku Itvisma
3. Jak podawany jest lek Itvisma
4. Możliwe działania niepożądane
5. Jak lek Itvisma jest przechowywany
6. Zawartość opakowania i inne informacje

1. Co to jest lek Itvisma i w jakim celu się go stosuje

Lek Itvisma to rodzaj leku zwany terapią genową, który zawiera substancję czynną onasemnogen abeparwówek. Działanie produktów terapii genowej polega na dostarczaniu do organizmu genu w celu skorygowania wady genetycznej. Gen jest dostarczany do komórek, które go potrzebują za pomocą zmodyfikowanego wirusa, który nie wywołuje choroby u ludzi.

Lek Itvisma jest stosowany w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni (ang. *spinal muscular atrophy*, SMA) 5q będącego rzadką, ciężką chorobą dziedziczną. Lek jest stosowany u dorosłych, młodzieży i dzieci w wieku od 2 lat z dziedzicznymi mutacjami (zmianami) występującymi w genie o nazwie *SMN1*.

SMA występuje, gdy w organizmie brakuje genu lub gdy występuje nieprawidłowa wersja genu potrzebnego do produkcji niezbędnego białka zwanego białkiem warunkującym przeżycie neuronów ruchowych (ang. *survival motor neuron*, SMN). Brak białka SMN powoduje, że nerwy, które kontrolują mięśnie (neurony ruchowe) obumierają. To powoduje osłabienie mięśni i ich zanikanie, a ostatecznie prowadzi do utraty ruchów.

Substancja czynna leku Itvisma, onasemnogen abeparwówek, działa dostarczając w pełni funkcjonującą kopię genu SMN, która następnie pomaga organizmowi produkować wystarczającą ilość białka SMN w celu przeżycia i zachowania neuronów ruchowych.

2. Informacje ważne przed otrzymaniem leku Itvisma

Kiedy NIE stosować leku Itvisma

- jeśli pacjent ma uczulenie na onasemnogen abeparwówek lub którykolwiek z pozostałych składników tego leku (wymienionych w punkcie 6).

Ostrzeżenia i środki ostrożności

Lekarz prowadzący wykona badanie, aby sprawdzić obecność przeciwciał przed leczeniem, co ma pomóc zdecydować, czy ten lek jest odpowiedni dla pacjenta.

Choroby wątroby

Przed otrzymaniem tego leku należy omówić to z lekarzem lub pielęgniarką, jeśli pacjent miał choroby wątroby. Ten lek może prowadzić do zwiększenia ilości enzymów (białek) wytwarzanych w wątrobie, co może być objawem problemów z wątrobą, lub do uszkodzenia wątroby. Należy natychmiast powiedzieć lekarzowi, w przypadku zauważenia wszelkich objawów sugerujących problemy z wątrobą, w tym:

- wymiotów;
- żółtaczkę (zażółcenia skóry lub białkówki oczu) lub
- zmniejszonej czujności (patrz punkt 4 „Możliwe działania niepożądane”).

Przed rozpoczęciem leczenia lekiem Itvisma u pacjenta przeprowadzone zostanie badanie krwi w celu oceny czynności wątroby. Pacjent otrzyma pewien typ leku zwany kortykosteroidem (na przykład prednizolon), co ma pomóc w leczeniu ewentualnego zwiększenia aktywności enzymów wątrobowych, które może wystąpić po otrzymaniu leku Itvisma (patrz punkt 3 „Jak podawany jest lek Itvisma”).

Pacjent będzie miał również wykonywane regularne badania krwi przez okres co najmniej 3 miesięcy po leczeniu w celu monitorowania zmian w funkcjonowaniu wątroby. Badania te będą wykonywane częściej w pierwszych kilku tygodniach po podaniu leku Itvisma i podczas stosowania kortykosteroidów, a następnie rzadziej, jeśli wyniki badań wątroby będą zadowalające.

Regularne badania krwi

Ten lek może powodować zmniejszenie liczby płytek krwi (małopłytkowość). Należy zwrócić uwagę na możliwe objawy małej liczby płytek krwi po zastosowaniu leku Itvisma u pacjenta, takie jak nieprawidłowe zasinienie lub krwawienie (patrz punkt 4 „Możliwe działania niepożądane”). Większość przypadków małej liczby płytek krwi występowało w ciągu pierwszego tygodnia po podaniu pacjentowi leku Itvisma.

Przed rozpoczęciem leczenia lekiem Itvisma u pacjenta przeprowadzone zostanie badanie krwi w celu sprawdzenia liczby komórek krwi (w tym krwinek czerwonych i płytek krwi) w organizmie. Pacjent będzie miał również wykonywane regularne badania krwi przez pewien czas po leczeniu w celu monitorowania zmiany liczby płytek krwi.

Zaburzenia nerwów wpływające na odczuwanie bólu, temperatury i dotyku (obwodowa neuropatia czuciowa)

Po zastosowaniu leku Itvisma występowała obwodowa neuropatia czuciowa. Objawy mogą wystąpić po około trzech tygodniach od podania leku Itvisma. Możliwe objawy, na które należy zwracać uwagę po otrzymaniu tego leku obejmują drętwienie, mrowienie, kłucie lub ból ramion, dłoni, nóg i (lub) stóp. Jeśli wystąpi którykolwiek z tych objawów, należy natychmiast powiedzieć o tym lekarzowi prowadzącemu.

Nieprawidłowe krzepnięcie krwi w małych naczyniach krwionośnych (mikroangiopatia zakrzepowa)

Może wystąpić mikroangiopatia zakrzepowa. Mikroangiopatia zakrzepowa to poważne zaburzenie, w którym w najmniejszych naczyniach krwionośnych w całym ciele powstają bardzo małe zakrzepy krwi. Występowanie tego zaburzenia wiąże się z małopłytkowością, zmniejszeniem liczby płytek krwi (składników krwi wspomagających krzepnięcie krwi) oraz zniszczeniem czerwonych krwinek.

Mikroangiopatia zakrzepowa może być stanem zagrażającym życiu, jeśli nie będzie szybko leczona. Te zakrzepy krwi mogą mieć wpływ na nerki. Lekarz prowadzący może chcieć sprawdzać liczbę płytek krwi i ciśnienie krwi pacjenta. Przed rozpoczęciem leczenia lekiem Itvisma u pacjenta zostanie wykonane badanie krwi, aby sprawdzić stężenie kreatyniny, które jest wskaźnikiem funkcjonowania nerek. Możliwe objawy, na które należy zwracać uwagę po otrzymaniu leku Itvisma to łatwe powstawanie siniaków, napady drgawkowe lub zmniejszenie ilości wydalanego moczu. Należy pilnie zgłosić się po pomoc medyczną, jeśli u pacjenta wystąpi którykolwiek z tych objawów.

Ryzyko nowotworów związane z potencjalną insercją do DNA

Istnieje możliwość, że terapie genowe takie jak terapia Itvisma mogą wnikać do DNA komórek ludzkiego ciała. W rezultacie Itvisma może zwiększać ryzyko wystąpienia nowotworów ze względu na charakter leku. Należy omówić to z lekarzem prowadzącym. W przypadku guza lekarz prowadzący może pobrać próbkę do dalszej oceny.

Zakażenia

Zakażenie (np. przeziębienie, grypa lub zapalenie oskrzeli) przed leczeniem lekiem Itvisma lub po takim leczeniu, może prowadzić do bardziej poważnych powikłań. Opiekunowie i osoby pozostające w bliskim kontakcie z pacjentem powinni przestrzegać zasad zapobiegania zakażeniom (np. higiena rąk, zasłanianie ust podczas kasłania lub kichania, ograniczanie potencjalnych kontaktów). Należy zwrócić uwagę na występowanie objawów zakażenia, takich jak kaszel, świszczący oddech, kichanie, katar, ból gardła lub gorączka. Należy natychmiast powiedzieć lekarzowi prowadzącemu, jeśli u pacjenta wystąpią jakiegokolwiek objawy sugerujące zakażenie **przed** lub **po** leczeniu lekiem Itvisma. Jeśli przed rozpoczęciem leczenia lekiem Itvisma występuje zakażenie, lekarz może opóźnić leczenie do czasu ustąpienia zakażenia.

Oddawanie krwi, narządów, tkanek i komórek

Po leczeniu lekiem Itvisma pacjent nie będzie mógł być dawcą krwi, narządów, tkanek lub komórek, ponieważ lek Itvisma jest terapią genową.

Lek Itvisma a inne leki

Należy powiedzieć lekarzowi lub pielęgniarce o wszystkich lekach przyjmowanych przez pacjenta obecnie lub ostatnio, a także o lekach, które pacjent planuje przyjmować.

Szczepienia

Kortykosteroidy mogą wpływać na układ odpornościowy (obronny) organizmu, dlatego lekarz może zdecydować o opóźnieniu podawania niektórych szczepionek w czasie stosowania u pacjenta leczenia kortykosteroidem (patrz punkt 3 „Jak podawany jest lek Itvisma”). W przypadku jakichkolwiek pytań, należy porozmawiać z lekarzem lub pielęgniarką.

Ciąża i karmienie piersią

Nie ma dostępnych informacji dotyczących stosowania leku Itvisma u kobiet w ciąży lub karmiących piersią. Jeśli pacjentka jest w ciąży lub karmi piersią, przypuszcza że może być w ciąży lub gdy planuje mieć dziecko, powinna zwrócić się o poradę do lekarza prowadzącego przed otrzymaniem leczenia lekiem Itvisma.

Prowadzenie pojazdów i obsługiwanie maszyn

Nie należy prowadzić pojazdów ani obsługiwać maszyn, jeśli u pacjenta wystąpią zawroty głowy (patrz punkt 4 „Możliwe działania niepożądane”). Należy najpierw porozmawiać z lekarzem.

Lek Itvisma zawiera sól

Lek zawiera mniej niż 1 mmol (23 mg) sodu na dawkę 3 ml, to znaczy lek uznaje się za „wolny od sodu”.

3. Jak podawany jest lek Itvisma

Zalecana dawka leku Itvisma to $1,2 \times 10^{14}$ genomy wektora (vg). Lek Itvisma zostanie podany pacjentowi tylko JEDEN RAZ.

Lek Itvisma będzie podany pacjentowi w szpitalu pod nadzorem lekarza posiadającego doświadczenie w leczeniu pacjentów z SMA.

Lek Itvisma jest podawany we wstrzyknięciu w dolną część pleców. To wstrzyknięcie, zwane nakłuciem lędźwiowym, wykonuje się wprowadzając igłę do przestrzeni otaczającej rdzeń kręgowy. Pacjent może także otrzymać lek rozluźniający lub usypiający na czas wykonania zabiegu. Opiekę nad pacjentem po podaniu leku Itvisma będzie sprawował lekarz prowadzący.

Pacjent otrzyma również doustnie prednizolon (lub inny kortykosteroid), którego podawanie rozpocznie się 24 godziny przed zastosowaniem leku Itvisma. Dawka kortykosteroidu również będzie zależała od masy ciała pacjenta. Lekarz obliczy całkowitą dawkę, jaką należy podać.

Pacjent będzie otrzymywał leczenie kortykosteroidem codziennie przez około 2 miesiące po podaniu dawki leku Itvisma lub do czasu, gdy aktywność enzymów wątrobowych u pacjenta zmniejszy się do dopuszczalnej wartości. Lekarz będzie powoli zmniejszał dawkę kortykosteroidu, aż do całkowitego zaprzestania podawania. Jeśli u pacjenta wystąpią wymioty przed lub po przyjęciu dawki kortykosteroidu, należy powiedzieć o tym lekarzowi prowadzącemu; lekarz wówczas zapewni, by pacjent otrzymał pełną dawkę leku.

W razie jakichkolwiek dalszych wątpliwości związanych ze stosowaniem tego leku, należy zwrócić się do lekarza lub pielęgniarki.

4. Możliwe działania niepożądane

Jak każdy lek, lek ten może powodować działania niepożądane, chociaż nie u każdego one wystąpią.

Należy natychmiast zasięgnąć pomocy medycznej, jeśli u dziecka wystąpią jakiegokolwiek z poniższych ciężkich objawów niepożądanych:

Często (mogą wystąpić u nie więcej niż 1 na 10 osób)

- zasinienie lub krwawienie trwające dłużej niż zazwyczaj w przypadku, gdy pacjent doznał urazu - mogą to być objawy małej liczby płytek krwi (małopłytkowości).
- zaburzenia nerwowe wpływające na odczuwanie bólu, temperatury, dotyku (obwodowa neuropatia czuciowa)
- odczucia takie jak drętwienie, mrowienie, klucie (parestezje)
- osłabienie zmysłu dotyku lub odczuwania bodźców (niedoczulica).

Jeśli u pacjenta pojawią się jakiegokolwiek inne objawy niepożądane, należy porozmawiać z lekarzem lub pielęgniarką. Mogą one obejmować:

Bardzo często (mogą wystąpić u więcej niż 1 na 10 osób)

- zakażenie nosa i gardła (górnych dróg oddechowych)
- gorączka
- wymioty
- ból głowy

Często (mogą wystąpić u nie więcej niż 1 na 10 osób)

- zwiększenie aktywności enzymów wątrobowych obserwowane w badaniach krwi
- zawroty głowy

Zgłaszanie działań niepożądanych

Jeśli wystąpią jakiegokolwiek objawy niepożądane, w tym wszelkie objawy niepożądane niewymienione w tej ulotce, należy powiedzieć o tym lekarzowi lub pielęgniarce. Działania niepożądane można zgłaszać bezpośrednio do Departamentu Monitorowania Niepożądanych Działań Produktów Leczniczych Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych

Al. Jerozolimskie 181C

PL-02 222 Warszawa

Tel.: + 48 22 49 21 301

Faks: + 48 22 49 21 309

Strona internetowa: <https://smz.ezdrowie.gov.pl>.

Dzięki zgłaszaniu działań niepożądanych można będzie zgromadzić więcej informacji na temat bezpieczeństwa stosowania leku.

5. Jak lek Itvisma jest przechowywany

Lek należy przechowywać w miejscu niewidocznym i niedostępnym dla dzieci.

Podane niżej informacje są przeznaczone wyłącznie dla osób z fachowego personelu medycznego, które będą przygotowywać i podawać ten lek.

Nie stosować tego leku po upływie terminu ważności zamieszczonego na etykiecie fiolki i pudełku po: EXP. Termin ważności oznacza ostatni dzień podanego miesiąca.

Fiolka będzie przewożona w stanie zamrożonym (w temperaturze -60 °C lub poniżej).

Przechowywać w oryginalnym opakowaniu.

Po otrzymaniu fiolkę należy natychmiast przechowywać w lodówce w temperaturze 2 °C do 8 °C w oryginalnym opakowaniu. Leczenie lekiem Itvisma należy rozpocząć w ciągu 14 dni od otrzymania fiolki.

Po rozmrożeniu, produktu leczniczego nie wolno ponownie zamrażać i można go przechowywać w lodówce w temperaturze 2 °C do 8 °C w oryginalnym opakowaniu przez 14 dni.

Po pobraniu dawki do strzykawki może ona być przechowywana w temperaturze od 2 °C do 8 °C przez maksymalnie 24 godziny, wliczając w to maksymalnie 5-godzinny okres przechowywania poza lodówką w okresie 24 godzin.

Ten lek zawiera organizmy modyfikowane genetycznie. Niewykorzystane resztki leku lub odpady należy usunąć zgodnie z lokalnymi wytycznymi dotyczącymi postępowania z odpadami biologicznymi. Ponieważ ten lek będzie podawany przez lekarza, to lekarz jest odpowiedzialny za prawidłowe usuwanie produktu. Takie postępowanie pomoże chronić środowisko.

6. Zawartość opakowania i inne informacje

Co zawiera lek Itvisma

- Substancją czynną leku jest onasemnogen abeparwovek. Każda fiolka zawiera $1,2 \times 10^{14}$ genomy wektora onasemnogenu abeparwovek w 3 ml roztworu.
- Pozostałe składniki to: trometamina, magnezu chlorek, sodu chlorek, poloksamer 188, kwas chlorowodorowy (do wyrównania pH) i woda do wstrzykiwań (patrz także punkt 2 „Lek Itvisma zawiera sól”).

Jak wygląda lek Itvisma i co zawiera opakowanie

Lek Itvisma to przejrzysty do lekko nieprzezroczystego, bezbarwny do lekko białego roztwór do wstrzykiwań.

Lek Itvisma jest dostarczany w pudełku kartonowym zawierającym jedną fiolkę o nominalnej objętości 3 ml. Każda fiołka przeznaczona jest wyłącznie do jednorazowego użytku.

Podmiot odpowiedzialny

Novartis Europharm Limited
Vista Building
Elm Park, Merrion Road
Dublin 4
Irlandia

Wytwórca

Novartis Pharmaceutical Manufacturing GmbH
Biochemiestraße 10
6336 Langkampfen
Austria

Novartis Pharma GmbH
Sophie-Germain-Strasse 10
90443 Nürnberg
Niemcy

W celu uzyskania bardziej szczegółowych informacji dotyczących tego leku należy zwrócić się do miejscowego przedstawiciela podmiotu odpowiedzialnego:

Polska

Novartis Poland Sp. z o.o.
Tel.: +48 22 375 4888

Data ostatniej aktualizacji ulotki: 06/2026

Inne źródła informacji

Szczegółowe informacje o tym leku znajdują się na stronie internetowej Europejskiej Agencji Leków <https://www.ema.europa.eu>. Znajdują się tam również linki do stron internetowych o rzadkich chorobach i sposobach leczenia.

Informacje przeznaczone wyłącznie dla fachowego personelu medycznego:

Uwaga: Przed użyciem należy zapoznać się z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL).

Każda fiołka przeznaczona jest wyłącznie do jednorazowego użytku.

Postępowanie z produktem leczniczym

- Produkt leczniczy Itvisma należy przygotowywać z zachowaniem zasad aseptyki w warunkach jałowych.
- Przed wstrzyknięciem dooponowym produkt leczniczy Itvisma powinien osiągnąć temperaturę pokojową. Rozmrozić produkt leczniczy Itvisma w lodówce (2 °C do 8 °C) przez około 4 godziny lub w temperaturze pokojowej (20 °C do 25 °C) przez około 1 godzinę.

- Itvisma to przejrzysty do lekko nieprzezroczystego, bezbarwny do lekko białego roztwór. Nie stosować tego produktu leczniczego, jeśli po rozmrożeniu produktu i przed podaniem zauważy się cząstki stałe, zmętnienie lub przebarwienie.
- Nie wstrząsać.
- Rozmrożonego produktu leczniczego nie należy zamrażać ponownie.
- Po rozmrożeniu produkt leczniczy Itvisma należy podać jak najszybciej. Po pobraniu objętości dawki do strzykawki można ją przechowywać w lodówce (2 °C do 8 °C) przez maksymalnie 24 godziny, wliczając w to maksymalnie 5-godzinny okres przechowywania poza lodówką w okresie 24 godzin. Jeśli strzykawka zawierająca wektor nie zostanie zużyta w tym czasie, należy ją usunąć.

Przygotowanie

- Ten produkt leczniczy zawiera organizmy modyfikowane genetycznie (GMO).
- Podczas przygotowywania lub podawania produktu Itvisma należy zakładać środki ochrony osobistej (w tym rękawiczki ochronne, okulary ochronne, fartuch laboratoryjny i rękawy).
- Podczas przygotowywania wstrzyknięcia należy upewnić się, że powierzchnia poszczególnych elementów mających kontakt z roztworem produktu leczniczego Itvisma składa się ze zgodnych materiałów wymienionych w tabeli poniżej. Elementy urządzenia muszą mieć wskazanie do podawania dooponowego lub znieczulenia centralnego.

Materiały elementów zestawu zgodne z produktem leczniczym Itvisma

Element	Materiał konstrukcyjny
Igła w rozmiarze 18 do 19 G do pobrania, o maksymalnej długości 40 mm	Stal nierdzewna
Strzykawka o objętości 5 do 10 ml ^a	Polipropylen
Nakładka strzykawki ^a	Polipropylen, polietylen lub metakrylan-akrylonitryl-butadien-styren
Igła do nakłuć lędźwiowych w rozmiarze 22 do 27 G, o maksymalnej długości 156 mm	Stal nierdzewna
^a Nie może być wytworzona z polichlorku winylu (PVC), bisfenolu A (BPA), ftalanu bis(2-etyloheksylu) (DEHP) lub lateksu	

Sposób podawania

Podanie dooponowe. Leczenie należy podawać dooponowo, przez punkcję lędźwiową wykonaną przez osobę z fachowego personelu medycznego posiadającą doświadczenie w wykonywaniu punkcji lędźwiowych.

- Bezpośrednio przed podaniem pobrać zawartość z fiolki do strzykawki, usunąć ze strzykawki powietrze, potwierdzić, że objętość dawki w strzykawce wynosi 3 ml, nałożyć osłonę na strzykawkę i dostarczyć do miejsca wykonywania wstrzyknięcia.
- Jeśli istnieją wskazania ze względu na stan kliniczny pacjenta, należy rozważyć zastosowanie sedacji.
- Można rozważyć wykorzystanie metod obrazowania w celu odpowiedniego nakierowania dooponowego wstrzyknięcia.
- Należy dokonać oceny stanu pacjenta przed i po wstrzyknięciu dooponowym pod kątem obecności potencjalnych zaburzeń związanych z punkcją lędźwiową, co pozwoli uniknąć poważnych powikłań zabiegu.
- Przed podaniem należy pobrać 3 ml płynu mózgowo-rdzeniowego (ang. *cerebrospinal fluid*, CSF) przy użyciu igły do punkcji lędźwiowej.
- Produkt leczniczy Itvisma podaje się w pojedynczej dawce w bolusowym wstrzyknięciu dooponowym trwającym około 1 do 2 minut.
- Po wykonaniu wstrzyknięcia dooponowego zaleca się ułożenie pacjenta w pozycji Trendelenburga (w zależności od stanu klinicznego pacjenta).

Przypadkowe narażenie

Należy unikać przypadkowego narażenia na produkt leczniczy Itvisma.

W przypadku zetknięcia się produktu ze skórą, obszar skóry należy dokładnie myć mydłem i wodą przez co najmniej 15 minut. W przypadku zetknięcia się produktu z oczami, należy je dokładnie płukać wodą przez co najmniej 15 minut.

W przypadku rozlania produktu leczniczego Itvisma, produkt należy wytrzeć chłonnym gazikiem, a obszar rozlania należy zdezynfekować roztworem środka dezynfekującego, a następnie chusteczkami nasączonymi alkoholem. Wszelkie materiały wykorzystane do sprzątnięcia rozlanego produktu należy zapakować w dwie torby i usunąć zgodnie z lokalnymi zasadami dotyczącymi postępowania z odpadami biologicznymi.

Usuwanie

Wszelkie materiały, które mogły wejść w kontakt z produktem leczniczym Itvisma (np. fiolka, wszelkie materiały użyte do wykonania wstrzyknięcia, w tym jałowe serwety i igły) należy usunąć zgodnie z lokalnymi wytycznymi dotyczącymi postępowania z odpadami biologicznymi.