



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Itvisma (*Onasemnogene Abeparvovec*)

Leicht verständliche Übersicht über Itvisma und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Itvisma und wofür wird es angewendet?

Itvisma ist ein Gentherapeutikum zur Behandlung der spinalen Muskelatrophie (SMA), einer schweren Erkrankung der Nervenzellen (Neuronen), die Muskelschwund und Muskelschwäche verursacht, bei Personen ab einem Alter von 2 Jahren mit vererbten Mutationen (Veränderungen) im SMN1-Gen.

SMA ist selten, und Itvisma wurde am 19. Juni 2015 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509.

Itvisma enthält den Wirkstoff Onasemnogene Abeparvovec.

Wie wird Itvisma angewendet?

Itvisma ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte von einem in der Behandlung von SMA erfahrenen Arzt eingeleitet, durchgeführt und überwacht werden.

Das Arzneimittel ist als Injektionslösung erhältlich. Es wird in einem Krankenhaus nur einmal intrathekal injiziert (im unteren Rückenbereich, direkt in die Flüssigkeit um das Rückenmark). Diese Injektion ist in einem Krankenhaus von einem Arzt vorzunehmen, der darin erfahren ist. Gegebenenfalls ist die Sedierung des Patienten (Anwendung eines Arzneimittels zur Beruhigung) vor der Gabe von Itvisma erforderlich.

Den Patienten wird außerdem 24 Stunden vor der Itvisma-Behandlung Prednisolon (oder ein anderes Corticosteroid) zum Einnehmen gegeben. Die tägliche Corticosteroidbehandlung dauert etwa zwei Monate nach der Itvisma-Dosis oder bis die Leberenzymwerte des Patienten auf ein akzeptables Niveau zurückgehen. Der Arzt senkt die Corticosteroiddosis langsam, bis sie vollständig abgesetzt werden kann.

Weitere Informationen zur Anwendung von Itvisma entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

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



Wie wirkt Itvisma?

Patienten mit SMA haben einen Defekt an einem Gen namens SMN1, das der Körper zur Herstellung eines Proteins benötigt, das unerlässlich für das Überleben und das normale Funktionieren der unteren Motoneuronen ist, d. h. der Nervenzellen des Rückenmarks, die Muskelbewegungen steuern. Der Wirkstoff in Itvisma, Onasemnogen Apeparvovec, enthält eine funktionstüchtige Kopie dieses Gens. Er geht bei der Injektion in die Motoneuronen über, wo er das richtige Gen liefert, damit das Protein ausreichend gebildet und so die Bewegungsfunktion verbessert wird.

Welchen Nutzen hat Itvisma in den Studien gezeigt?

Eine Hauptstudie, an der 126 Kinder mit SMA im Alter von 2 bis unter 18 Jahren teilnahmen, die zuvor nicht mit anderen SMA-Arzneimitteln behandelt worden waren und die zwar sitzen konnten, jedoch nie selbstständig gehen konnten, zeigte, dass Itvisma die Bewegungsfunktion im Vergleich zu Placebo (einer Scheininjektion) wirksam verbessert.

Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung der Bewegungsfunktion, die ein Jahr nach der Behandlung mit Itvisma anhand einer als HFMSE bezeichneten Skala beurteilt wurde (Hammersmith functional motor scale – expanded). Die Veränderung des HFMSE-Scores betrug 2,4 bei Patienten, die Itvisma erhielten, verglichen mit 0,5 bei Patienten, die Placebo erhielten. Dies deutet auf eine Verbesserung der Bewegungsfunktion, wie z. B. Haltungswechsel oder Armbewegungen, bei den behandelten Patienten nach einem Jahr hin.

Studien, die mit Itvisma durchgeführt wurden, werden im Beurteilungsbericht des Arzneimittels ausführlicher beschrieben.

Welche Nebenwirkungen und Einschränkungen gibt es im Zusammenhang mit Itvisma?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Itvisma ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Itvisma (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Infektionen der oberen Atemwege (Nase und Rachen), Fieber, Erbrechen und Kopfschmerzen. Weitere häufige Nebenwirkungen (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind erhöhte Leberenzymwerte.

Einige Nebenwirkungen können schwerwiegend sein. Sehr häufige Nebenwirkungen (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Erbrechen, erhöhte Leberenzymwerte, Kopfschmerzen und Fieber.

Warum wurde Itvisma in der EU zugelassen?

Es wurde gezeigt, dass Itvisma bei Patienten ab einem Alter von 2 Jahren (Kinder, Jugendliche und Erwachsene) mit SMA zu klinisch bedeutsamen Verbesserungen der Bewegungsfunktion führt. Die Nebenwirkungen waren denen eines anderen Arzneimittels, das denselben Wirkstoff enthält, ähnlich und wurden als beherrschbar angesehen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Itvisma gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Itvisma ergriffen?

Das Unternehmen, das Itvisma in Verkehr bringt, wird medizinischen Fachkräften, Patienten und Betreuungspersonen Schulungsmaterialien mit Informationen über SMA, die sichere Anwendung des Arzneimittels, die mit dem Arzneimittel verbundenen Risiken sowie die Identifizierung und Meldung von Nebenwirkungen bereitstellen.

Diese Materialien können von den zuständigen nationalen Behörden auf ihren Internetseiten zur Verfügung gestellt werden. Eine Liste der nationalen Materialsammlungen ist auf den [Internetseiten der EMA](#) verfügbar.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Itvisma, die von medizinischen Fachkräften und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Itvisma kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Itvisma werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Itvisma

Itvisma erhielt am eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Itvisma, einschließlich der Packungsbeilage und des Beurteilungsberichts, finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma.

Wenn Sie Informationen zur Verfügbarkeit dieses Arzneimittels in Ihrem Land benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihre [zuständige nationale Behörde](#).