



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Itvisma (*onasemnogene abeparvovec*)

Een overzicht in begrijpelijke taal van Itvisma en waarom het is geregistreerd in de EU

### Wat is Itvisma en wanneer wordt het voorgeschreven?

Itvisma is een geneesmiddel voor gentherapie voor het behandelen van spinale spieratrofie (spinal muscular atrophy, SMA), een ernstige aandoening aan de zenuwcellen (neuronen) die spierverlies en zwakte veroorzaakt, bij patiënten van twee jaar en ouder met een erfelijke mutatie (verandering) in het SMN1-gen.

SMA is zeldzaam en Itvisma werd op 19 juni 2015 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau:  
[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151509).

Itvisma bevat de werkzame stof onasemnogene abeparvovec.

### Hoe wordt Itvisma gebruikt?

Itvisma is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaren is in het behandelen van SMA.

Het middel is beschikbaar in de vorm van een oplossing voor injectie. In een ziekenhuisomgeving wordt slechts eenmaal een dosis Itvisma toegediend via een intrathecale injectie (in de onderrug, rechtstreeks in het ruggenmergvocht) door een arts die ervaring heeft met deze ingreep. Patiënten moeten mogelijk gesedeerd worden (een kalmerend middel krijgen) voordat Itvisma wordt toegediend.

Patiënten krijgen ook prednisolon (of een ander corticosteroïd) toegediend via de mond, 24 uur voordat Itvisma wordt toegediend. De behandeling met corticosteroïden wordt na toediening van de dosis Itvisma gedurende ongeveer twee maanden voortgezet of totdat de leverenzymwaarden van de patiënt tot een aanvaardbaar niveau zijn gedaald. De arts zal de dosis corticosteroïden langzaam afbouwen totdat deze behandeling volledig kan worden stopgezet.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Itvisma.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Hoe werkt Itvisma?

Patiënten met SMA hebben een defect in het SMN1-gen, een gen dat het lichaam nodig heeft om een eiwit aan te maken dat essentieel is voor de overleving en het normale functioneren van lagere motorische neuronen, de zenuwcellen uit het ruggenmerg die spierbewegingen aansturen. De werkzame stof in Itvisma, onasemnogene abeparvovec, bevat een functionele kopie van dit gen. Wanneer het middel wordt geïnjecteerd, gaat het over in de motorische neuronen van waaruit het juiste gen levert om voldoende van het eiwit aan te maken en zo de motorische functie te verbeteren.

## Welke voordelen bleek Itvisma tijdens de studies te hebben?

Uit een hoofdstudie onder 126 kinderen met SMA in de leeftijd van 2 tot jonger dan 18 jaar die niet eerder met andere SMA-geneesmiddelen waren behandeld en die in staat waren te zitten, maar nooit zelfstandig hebben kunnen lopen, bleek dat Itvisma werkzaam is bij het verbeteren van de motorische functie in vergelijking met placebo (een schijninjectie).

De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering in de motorische functie die één jaar na toediening van Itvisma werd beoordeeld aan de hand van de score op de zogeheten HFMSE-schaal (Hammersmith functional motor scale – expanded). De verandering in de HFMSE-score bedroeg 2,4 punten bij patiënten die Itvisma kregen, tegenover 0,5 punt bij patiënten die placebo kregen. Dit wijst op een verbetering van de motorische vaardigheden, zoals het veranderen van houding of het bewegen van armen, bij de behandelde patiënten na een jaar.

De studies die met Itvisma zijn uitgevoerd, worden nader beschreven in het beoordelingsrapport van het geneesmiddel.

## Welke bijwerkingen en beperkende voorwaarden gaan gepaard met Itvisma?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Itvisma.

De meest voorkomende bijwerkingen van Itvisma (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn infectie van de bovenste luchtwegen (neus- en keelinfectie), koorts, braken en hoofdpijn. Andere vaak voorkomende bijwerkingen (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn verhoogde leverenzymwaarden.

Sommige bijwerkingen kunnen ernstig zijn. De meest voorkomende ernstige bijwerkingen (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn braken, verhoogde leverenzymwaarden, hoofdpijn en koorts.

## Waarom is Itvisma geregistreerd in de EU?

Er is aangetoond dat Itvisma leidt tot klinisch betekenisvolle verbeteringen van de motorische functie bij patiënten van 2 jaar en ouder (kinderen, adolescenten en volwassenen) met SMA. De bijwerkingen waren vergelijkbaar met die van een ander geneesmiddel dat dezelfde werkzame stof bevat en werden beheersbaar geacht. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Itvisma groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Itvisma te waarborgen?**

Het bedrijf dat Itvisma in de handel brengt, zal professionele zorgverleners, patiënten en verzorgers voorzien van voorlichtingsmateriaal met informatie over SMA, hoe het geneesmiddel veilig kan worden gebruikt, de aan het geneesmiddel verbonden risico's en hoe bijwerkingen kunnen worden vastgesteld en gemeld.

Het voorlichtingsmateriaal zal door de nationale bevoegde instanties beschikbaar worden gesteld op hun websites. Een lijst van nationale databanken is te vinden op de [website van het EMA](#).

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Itvisma zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Itvisma continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Itvisma worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

## **Overige informatie over Itvisma**

Op <datum van afgifte van de handelsvergunning> is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Itvisma verleend.

Meer informatie over Itvisma, waaronder de bijsluiter en het beoordelingsrapport, is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/itvisma).

Voor informatie over de beschikbaarheid van dit geneesmiddel in uw land kunt u contact opnemen met uw [nationale bevoegde instantie](#).