

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2026_031
Handelsnavn (virkestoff)	Itvisma (onasemnogenabeparvovek)
Virkningsmekanisme	Genterapimiddel som uttrykker det humane survival motor neuron (SMN)-proteinet. Pasienter med spinal muskelatrofi (SMA) har SMN-proteinmangel.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et kjent virkestoff, med ny formulering, dosering, indikasjon og nytt handelsnavn. Legemidlet har markedsføringstillatelse (MT) i Europa for den aktuelle indikasjonen ¹ .
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☒ Nei ☐
Aktuell indikasjon	Behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA) med en bi-allelisk mutasjon i SMN1-genet, hos pasienter fra 2 år og oppover (1).
Dosering	Itvisma er en engangsbehandling. Administreres intratekalt som en enkeltdose med $1,2 \times 10^{14}$ vektorgenomer (vg) (1).
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Novartis Norge AS (leverandør)
Bakgrunn	Onasemnogenabeparvovek (Itvisma) er en ny formulering, dosering og indikasjon av et kjent virkestoff. Fra før er onasemnogenabeparvovek (Zolgensma) med en annen administrasjonsform (intravenøs infusjon) og dosering til yngre pasienter innført i Nye Metoder. Se preparatomtalen² og metodesiden³ for fullstendig beskrivelse. Den nye administrasjonsmåten (intratekalt) gjør det mulig å behandle med onasemnogenabeparvovek hos eldre barn og voksne. Effekten av Itvisma er studert i en 52-ukers, randomisert, dobbelblindet, sham-kontrollert fase III-studie (STEER). Effekten ble vurdert hos 126 pasienter med SMA i alderen 2 til < 18 år som var behandlingsnaive og kunne sitte, men som aldri hadde kunnet gå selvstendig. Pasientene ble randomisert 3:2 og fikk Itvisma, som en lumbal intratekal injeksjon (n = 75), eller sham-prosedyre (n = 51). Primært endepunkt var endringen fra baseline i total HFMSE⁴-score ved slutten av oppfølgingsperioden. Median alder ved screening var 4,54 år (intervall: 2,0 til 16,5 år), og median rapportert alder ved debut av kliniske tegn og symptomer på SMA var 11 måneder (intervall: 6 til 33 måneder). Effekten av Itvisma er også studert hos SMA-pasienter som tidligere har fått en annen sykdomsmodifiserende behandling for SMA (STRENGTH-studien). Dette er en fase III, åpen, enkeltarmet, multisenterstudie med intratekal administrering av Itvisma hos 27 pasienter med SMA i aldersgruppen 2 til < 18 år (medianalder ved screening: 7,0 år; intervall: 2,3 til 17,6 år) som hadde seponert tidligere SMA-behandling (nusinersen n = 21, risdiplam n = 4, nusinersen og risdiplam [ikke samtidig] n = 2). Før behandling med Itvisma hadde

¹ Itvisma, INN-onasemnogene abeparvovec² Zolgensma, INN-Onasemnogene abeparvovec

³ Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) - Nye metoder

⁴ -Hammersmith Functional Motor Scale – Expanded (HFMSE)

	pasientene tidligere fått nusinersen i en gjennomsnittlig varighet på 4,3 år (intervall: 1,86 til 6,18 år) og risdiplam i en gjennomsnittlig varighet på 3,0 år (intervall: 0,39 til 6,28 år). Alle pasientene kunne sitte, men hadde aldri kunnet gå selvstendig. MT-innehaver har i anmodningen foreslått en kostnad-per-QALY analyse for den aktuelle populasjonen av pasienter fra 2 år og oppover, med andre SMA-legemidler som er innført i norsk klinisk praksis som komparator, risdiplam (Evrysdi) og nusinersen (Spinraza).
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Tidligere metodevurderinger av Zolgensma, risdiplam og nusinersen til behandling av SMA ved ulike alvorlighetsgrader og aldre har ikke funnet grunnlag for å konkludere med at noen av legemidlene har bedre relativ effekt enn de andre legemidlene, se metodesidene på Nye Metoder. Av de innførte behandlingene til SMA er det i beslutningen av Zolgensma et vilkår om revurdering basert på oppdaterte data. Dokumentasjon fra firma ble mottatt 15.06.2026 og er nå til vurdering hos DMP. Effekt og sikkerhet av Itvisma er ikke undersøkt direkte mot risdiplam eller nusinersen i kliniske studier. Det er derfor nødvendig å etablere relativ effekt og sikkerhet sammenlignet med disse ved hjelp av indirekte statistiske sammenligninger. Det foreligger en vurdering av relativ effekt og sikkerhet (indirekte sammenligninger) fra HTAR JCA – det europeiske samarbeidet for relativ effekt-vurdering. I denne vurderingen er det utført flere analyser for ulike populasjoner, og Itvisma er sammenlignet mot henholdsvis nusinersen, risdiplam og standard støttebehandling (ingen årsakskorrigerende behandling). JCA-rapporten⁵ viser at det ikke kan dokumenteres mereffekt av Itvisma vs. nusinersen eller risdiplam. Generelt er evidensen usikker og samtlige analyser er basert på indirekte sammenligninger, hvorav mange er uankrede/ujusterte.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	Det foreligger en vurdering av relativ effekt og sikkerhet fra HTAR JCA som ikke viser mereffekt av Itvisma vs. relevante norske komparatorer. DMP vurderer at en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (terskelanalyse, ikke en kostnad-nytte-analyse) og en oppsummering av resultater fra JCA-rapporten som er relevante for norsk klinisk praksis, er hensiktsmessig.

Versjonslogg*

Dato	Hva
08.09.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.	

⁵ [Joint clinical assessment summary report of onasemnogene abeparvovec](#)