

PRESSEMITTEILUNG

Novartis Itvisma® (Onasemnogen abeparvovec intrathekal) erhält EU-Zulassung zur Behandlung der spinalen Muskelatrophie

- *Onasemnogen abeparvovec (Itvisma®) als erste und derzeit einzige AAV-basierte Gensatztherapie zur intrathekalen Einmalbehandlung für Kinder ab zwei Jahren, Jugendliche und Erwachsene mit spinaler Muskelatrophie zugelassen^{1,2}*
- *Zulassung basiert auf Ergebnissen der Phase-III-Studie STEER; Daten zeigen eine statistisch signifikante und anhaltende Verbesserung der motorischen Funktionen (HFMSE^a) sowie klinischen Nutzen bei therapienaiven Patient*innen³*
- *Onasemnogen abeparvovec als intrathekale Applikation mit einmaliger Verabreichung ermöglicht gewichtsunabhängigen, funktionellen Ersatz des SMN1-Gens und kann zum Erhalt der motorischen Funktionen und mehr persönlicher Selbstständigkeit für ältere Kinder, Jugendliche und Erwachsene beitragen*

Nürnberg, 02. Juli 2026 – Novartis hat bekannt gegeben, dass die Europäische Kommission die Zulassung von Onasemnogen abeparvovec (OAV101B) als intrathekale Applikation für die Behandlung von Kindern ab zwei Jahren, Jugendlichen und Erwachsenen mit 5q-assoziiierter spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im Survival-Motor-Neuron-1-Gen (SMN1) erteilt hat.¹ Damit ist Onasemnogen abeparvovec als intrathekale Applikation die erste und derzeit einzige, als Einmalgabe verabreichte und auf einem adeno-assoziierten viralen Vektor (AAV) basierende Gensatztherapie, die in der Europäischen Union für diese breite SMA-Patient*innengruppe zugelassen ist.

Die Zulassungserweiterung folgt einer positiven Stellungnahme des Ausschusses für Humanarzneimittel (Committee for Medicinal Products for Human Use; CHMP) der Europäischen Arzneimittel-Agentur (European Medicines Agency; EMA) im April⁴, die sich auf Daten der zulassungsrelevanten Phase-III-Studie STEER sowie auf unterstützende Daten aus der Phase-IIIb-Studie STRENGTH und der Phase-I/II-Studie STRONG stützt.^{3,5,6} In der STEER-Studie zeigte Onasemnogen abeparvovec bei therapienaiven Patient*innen eine statistisch signifikante Verbesserung um 2,39 Punkte gegenüber der Scheinintervention von 0,51 Punkten (Δ 1,88 Punkte; $p = 0,0074$) auf der Hammersmith Functional Motor Scale-Expanded (HFMSE^a), gemessen nach 52 Wochen.³ Die STRENGTH-Studie zeigte zudem einen klinisch bedeutsamen Nutzen bei vorbehandelten Patient*innen.⁵

Die am häufigsten berichteten unerwünschten Ereignisse waren in den Studien STEER, STRENGTH und STRONG ähnlich.^{3,5,6} In der STEER-Studie waren die häufigsten unerwünschten Ereignisse Infektionen der oberen Atemwege und Fieber, während in der STRENGTH-Studie Erkältung, Fieber und Erbrechen am häufigsten auftraten.^{3,5}

Onasemnogen abeparvovec als intrathekale Applikation wurde speziell dafür entwickelt, die genetische Ursache von SMA mit einer einmaligen, festen Dosis zu behandeln, die nicht an das Alter oder das Körpergewicht angepasst werden muss.² Die Gensatztherapie nutzt einen nicht-replizierenden, rekombinanten AAV Serotyp 9 (AAV9)-Vektor, der nach intrathekaler Applikation eine Verteilung im Liquorraum ermöglicht und dadurch zur Transduktion von Zellen des zentralen Nervensystems, einschließlich Motoneuronen, führt.^{2,7,8} Durch diesen gezielten Gensatz kann Onasemnogen abeparvovec intrathekal die motorischen Funktionen verbessern und

^a Hammersmith Functional Motor Scale-Expanded (HFMSE): Skala zur Bewertung der motorischen Funktion bei SMA.

bietet damit eine Behandlungsoption mit einmaliger Verabreichung, die sich von den kontinuierlichen Dosierungsansätzen anderer verfügbarer Therapien für diese Patient*innengruppe unterscheidet.³

Bereits vor der Erweiterung der Indikation und der Darreichungsform war der Wirkstoff Onasemnogen abeparvovec in Deutschland seit 2020 unter dem Handelsnamen Zolgensma® zugelassen. Diese Zulassung bezieht sich spezifisch auf die intravenöse und gewichtsabhängige Behandlung von Patient*innen mit 5q-assoziiierter SMA mit einer biallelischen Mutation des *SMN1*-Gens, entweder mit klinisch diagnostizierter Typ-1-SMA oder mit bis zu drei Kopien des *SMN2*-Gens.⁹

Mit der intrathekalen Applikationsform von Onasemnogen abeparvovec steht nun eine weitere Therapieoption für SMA-Patient*innen zur Verfügung. Ziel der Behandlung ist der Erhalt oder die Verbesserung motorischer Funktionen, was insbesondere bei älteren Kindern, Jugendlichen und Erwachsenen zur Unterstützung der Selbstständigkeit beitragen kann.

Über spinale Muskelatrophie

Spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine seltene, genetische, neuromuskuläre Erkrankung, die durch Mutationen im *SMN1*-Gen verursacht wird, wodurch ein Mangel an funktionellem SMN-Protein entsteht. Dies führt zu einem irreversiblen Verlust von Motoneuronen, was die Muskelfunktionen beeinträchtigt, einschließlich Atmung, Schlucken und grundlegender Bewegungen.¹⁰⁻¹² Die Schwere der SMA variiert über ein Spektrum von Typen, die im Allgemeinen mit der Anzahl der Kopien des *SMN2*-Gens korrespondieren, das im Vergleich zu *SMN1* nur einen kleinen Bruchteil (~10%) des funktionalen SMN-Proteins produziert.¹¹ Der Verlust von Motoneuronen kann nicht rückgängig gemacht werden, sodass Patient*innen mit SMA, die zum Zeitpunkt der Behandlung Symptome zeigen, wahrscheinlich eine unterstützende Atem-, Ernährungs- und/oder muskuloskelettale Versorgung benötigen, um zum Erhalt funktioneller Fähigkeiten beizutragen.¹² SMA hat eine geschätzte globale Prävalenz von etwa 1 bis 2 pro 100.000 Menschen und eine Inzidenz von rund 1 von 10.000 Lebendgeburten.¹³

Über Onasemnogen abeparvovec

Onasemnogen abeparvovec ist eine Gensatztherapie, welche die monogenetische Ursache der SMA adressiert, indem sie eine funktionelle Kopie des *SMN1*-Gens gezielt in Zellen des zentralen Nervensystems, einschließlich Motoneuronen, einbringt.^{2,7,8} Dieser kausale Ansatz zielt darauf ab, die Expression des für das Überleben der Motoneuronen essenziellen SMN-Proteins kontinuierlich wiederherzustellen und dadurch die motorische Funktion zu stabilisieren und zu verbessern. Bereits seit 2020 ist der Wirkstoff in Deutschland unter dem Handelsnamen Zolgensma® zur intravenösen und gewichtsabhängigen Behandlung von Patient*innen mit 5q-assoziiierter SMA (mit biallelischer *SMN1*-Mutation und bis zu drei *SMN2*-Kopien oder Typ-1-Diagnose) zugelassen.⁹ Als Neuerung steht mit der intrathekalen Applikationsform von Onasemnogen abeparvovec (Itvisma®) nun eine gewichtsunabhängige Therapieoption zur einmaligen, festen Dosierung zur Verfügung.² Diese Darreichungsform nutzt einen nicht-replizierenden, rekombinanten AAV9-Vektor zur Verteilung im Liquorraum und führt so zur Transduktion von Zellen des zentralen Nervensystems.^{2,7,8} Ziel dieser Behandlung von älteren Kindern ab zwei Jahren, Jugendlichen und Erwachsenen ist der Erhalt oder die Verbesserung motorischer Funktionen zur Unterstützung der Selbstständigkeit.³

Über die Phase-III-Studie STEER³

In der zulassungsrelevanten STEER-Studie wurden Wirksamkeits- und Sicherheitsresultate bei behandlungsnaiven Patient*innen mit SMA-Typ 2 untersucht, die ≥2 bis <18 Jahre alt waren, sitzen konnten, aber nie eigenständig gegangen sind. Die Ergebnisse für OAV101B wurden mit einer Scheinintervention verglichen, einem Verfahren, das die Verabreichung eines Prüfmedikaments nachahmt, ohne eine aktive Behandlung zu liefern. 126 Patient*innen erhielten entweder OAV101B (n = 75) oder eine Scheinintervention (n = 51). Das durchschnittliche Alter bei der Verabreichung betrug 5,89 (2,1–16,6) Jahre in der Behandlungsgruppe und 5,87 (2,4–14,2) Jahre in der Gruppe mit Scheinintervention.

Über die Phase-IIIb-Studie STRENGTH⁵

Die offene, einarmige Phase-IIIb-Studie STRENGTH untersuchte die Sicherheit und Verträglichkeit sowie motorische Endpunkte der intrathekalen Anwendung von OAV101B bei Patient*innen mit SMA im Alter von ≥2 bis

<18 Jahren, die zuvor mit Nusinersen oder Risdiplam behandelt worden waren und diese Therapie abgebrochen hatten.

Über Novartis

Novartis ist ein Unternehmen, das sich auf innovative Arzneimittel konzentriert. Jeden Tag arbeiten wir daran, Medizin neu zu denken, um das Leben der Menschen zu verbessern und zu verlängern, damit Patient*innen, medizinisches Fachpersonal und die Gesellschaft in der Lage sind, schwere Krankheiten zu bewältigen. Unsere Medikamente erreichen mehr als 300 Millionen Menschen weltweit. In Deutschland beschäftigt Novartis über 2.600 Mitarbeitende an sechs Standorten.

Entdecken Sie mit uns die Medizin neu: Besuchen Sie uns unter <https://www.novartis.de/> und bleiben Sie mit uns auf [LinkedIn](#) und [YouTube](#) in Verbindung.

Referenzen

1. European Commission (EC). Union Register of medicinal products for human use. Product information Itvisma (EU/1/26/2038). Online verfügbar unter: [Union Register of medicinal products - Public health - European Commission](#) (zuletzt abgerufen am 02. Juli 2026)
2. European Medicines Agency (EMA). Itvisma. Online verfügbar unter: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/itvisma> (zuletzt abgerufen am 02. Juli 2026)
3. Proud C, et al. Nature Medicine. 2025. <https://doi.org/10.1038/s41591-025-04103-w>.
4. European Medicines Agency (EMA). Meeting highlights from the Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) 20-23 April 2026. April 24, 2026.
5. Kwon, J.M., et al. Nature Medicine. 2025 <https://doi.org/10.1038/s41591-025-04119-2>
6. Finkel, R S et al. J. Neuromuscul. Dis. 2023;10,3:389-404.
7. Chong LC, et al. Int J Mol Sci. 2021; 22(16):8962.
8. Merkel SF et al. J Neurochem. 2017;140(2):216-230.
9. Fachinformation Zolgensma®, aktueller Stand.
10. Anderton RS and Mastaglia FL. Expert Rev Neurother. 2015;15(8):895–908.
11. Finkel RS, et al. Neurology. 2014;83(9):810–7.
12. Lorson CL, et al. Hum Mol Genet. 2010;(15):111–8.
13. Verhaart IEC, et al. Orphanet J Rare Dis. 2017. <https://doi.org/10.1186/s13023-017-0671-8>.

###

Pressekontakt

Yasmin Messer

Communications and Engagement Manager Neuroscience

E-Mail: media.relations@novartis.com