Dokumentvorlage, Version vom 18.11.2025

Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V

Onasemnogen abeparvovec (Itvisma®)

Novartis Pharma GmbH

Modul 2

Allgemeine Angaben zum Arzneimittel, zugelassene Anwendungsgebiete

Stand: 29.07.2026

Inhaltsverzeichnis

Seite

Tabellenverzeichnis **2**
Abbildungsverzeichnis **3**
Abkürzungsverzeichnis **4**
2.1 Allgemeine Angaben zum Arzneimittel 6
2.1.1 Administrative Angaben zum Arzneimittel 7
2.1.2 Angaben zum Wirkmechanismus des Arzneimittels 7
2.2 Zugelassene Anwendungsgebiete 8
2.2.1 Anwendungsgebiete, auf die sich das Dossier bezieht 8
2.2.2 Weitere in Deutschland zugelassene Anwendungsgebiete 9
2.3 Beschreibung der Informationsbeschaffung für Modul 2 10
2.4 Referenzliste für Modul 2 10

Tabellenverzeichnis

Seite

Tabelle 2-1: Allgemeine Angaben zum zu bewertenden Arzneimittel 7
Tabelle 2-2: Pharmazentralnummern und Zulassungsnummern für das zu bewertende Arzneimittel 7
Tabelle 2-3: Zugelassene Anwendungsgebiete, auf die sich das Dossier bezieht 8
Tabelle 2-4: Weitere in Deutschland zugelassene Anwendungsgebiete des zu bewertenden Arzneimittels 9

Abbildungsverzeichnis

Seite

No table of figures entries found.

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
AOK	Allgemeine Ortskrankenkasse
ATC-Code	Anatomisch-Therapeutisch-Chemischer Code
EU	Europäische Union
EU-Dossier	Europäisches Dossier sind die im nach Artikel 10 Absatz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 zur Durchführung einer gemeinsamen klinischen Bewertung vorgelegten Dossier enthaltenen und die nach Artikel 10 Absatz 5 Satz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282, auf Aufforderung nach Artikel 11 Absatz 2 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 oder in Folge einer Information nach Artikel 11 Absatz 2 Satz 3 der Verordnung (EU) 2021/2282 nachgereichten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise.
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
Gemeinsame klinische Bewertung	Gemeinsame klinische Bewertung eines Arzneimittels im Sinne des Artikels 2 Nummer 6 der Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU (ABl. L 458 vom 22.12.2021, S. 1; L, 2024/90313, 28.5.2024) nach den Vorgaben der Verordnung (EU) 2021/2282
PZN	Pharmazentralnummer
SMA	spinale Muskelatrophie
VerfO	Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses
Verordnung (EU) 2021/2282	Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU

2 Modul 2 – allgemeine Informationen

Modul 2 enthält folgende Informationen:

– Allgemeine Angaben über das zu bewertende Arzneimittel (Abschnitt 0)

– Beschreibung der Anwendungsgebiete, für die das zu bewertende Arzneimittel zugelassen wurde (Abschnitt 2.2); dabei wird zwischen den Anwendungsgebieten, auf die sich das Dossier bezieht, und weiteren in Deutschland zugelassenen Anwendungsgebieten unterschieden.

Alle in den Abschnitten 0 und 2.2 getroffenen Aussagen sind zu begründen. Die Quellen (zum Beispiel Publikationen), die für die Aussagen herangezogen werden, sind in Abschnitt 2.4 (Referenzliste) eindeutig zu benennen. Das Vorgehen zur Identifikation der Quellen ist im Abschnitt 2.3 (Beschreibung der Informationsbeschaffung) darzustellen.

Im Dokument verwendete Abkürzungen sind in das Abkürzungsverzeichnis aufzunehmen. Sofern Sie für Ihre Ausführungen Tabellen oder Abbildungen verwenden, sind diese im Tabellen- beziehungsweise Abbildungsverzeichnis aufzuführen.

Im Falle einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 müssen pharmazeutische Unternehmen keine Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise vorlegen, die bereits auf Unionsebene vorgelegt wurden.

Wurde für ein Arzneimittel ein EU-Dossier vorgelegt und wurde die gemeinsame klinische Bewertung des Arzneimittels nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß dem 5. Kapitel § 9 Absatz 2a VerfO im Dossier anzugeben, ob und welche Nachweise aus dem EU-Dossier Grundlage der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V sein sollen, indem er durch Verweise in den betroffenen Abschnitten des vorliegenden Dossiers auf diese Nachweise Bezug nimmt.

Die Verweise sind dabei bis zur untersten vorhandenen Gliederungsebene und auf Abschnittsebene zu spezifizieren. Bei Verweisen auf Tabellen oder Abbildungen ist zusätzlich die jeweilige Tabellen- beziehungsweise Abbildungsnummerierung anzugeben.

Sind in Fällen einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 Angaben bisher teilweise oder vollständig nicht im EU-Dossier vorgelegt worden, so sind diese Angaben in den betroffenen Abschnitten des Moduls 2 jeweils zu ergänzen beziehungsweise die jeweilige Datei in Modul 5 vorzulegen.

Die in Abschnitt 2.1.1 und 2.2 darzulegenden Informationen beziehen sich auf den deutschen Versorgungskontext. Diese Abschnitte sind unabhängig von einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 ohne Verweise auszufüllen.

Sofern für ein Arzneimittel bis zum für die Einreichung des nationalen Dossiers maßgeblichen Zeitpunkt kein europäisches Dossier vorgelegt oder die gemeinsame klinische Bewertung des

Arzneimittels nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde, sind Verweise auf bereits im EU-Dossier vorgelegte Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise nicht möglich. In diesem Fall hat der pharmazeutische Unternehmer alle erforderlichen Angaben in Modul 2 ohne Verweise auszufüllen und die zugehörigen Dateien in Modul 5 vorzulegen.

Zur besseren Lesbarkeit der Texte wird bei Personenbezeichnungen und personenbezogenen Hauptwörtern die männliche Form verwendet. Entsprechende Begriffe gelten im Sinne der Gleichbehandlung grundsätzlich für alle Geschlechter und implizieren keinesfalls eine Präferenz oder Wertung.

Anmerkung: Für das Arzneimittel Itvisma® hat aufgrund des eigenständigen arzneimittelspezifischen zentralen Zulassungsverfahrens des Wirkstoffs Onasemnogen abeparvovec als neue, intrathekale Darreichungsform eine gemeinsame klinische Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 stattgefunden (JCA-MP-2024-12), auf die im vorliegenden Dossier an geeigneten Stellen Bezug genommen wird.

2.1 Allgemeine Angaben zum Arzneimittel

Der Wirkstoff **Onasemnogen abeparvovec** ist seit dem 18. Mai 2020 als intravenöse Infusion unter dem Namen **Zolgensma®** zugelassen für Patienten mit 5q-assoziierter spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder Patienten mit 5q-assoziierter SMA mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen und bis zu 3 Kopien des *SMN2*-Gens [1]. Diese Patientenpopulation ist bereits in einem Nutzenbewertungsverfahren nach § 35a SGB V durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) bewertet worden (Vorgangsnummer: 2021-05-15-D-679; Beschluss vom 04.11.2021 [2]). Seit diesem Jahr ist der Wirkstoff Onasemnogen abeparvovec auch als intrathekale Injektionsform unter dem Namen **Itvisma®** zugelassen für Patienten ab 2 Jahren und älter mit 5q-assoziierter spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen ([3]).

Die beiden zugelassenen Arzneimittel Zolgensma® und Itvisma® haben jeweils ein eigenständiges arzneimittelspezifisches zentrales Zulassungsverfahren durchlaufen, auch wenn es sich dabei um den gleichen neuen Wirkstoff Onasemnogen abeparvovec handelt.

Durch die Überlappung der gemäß Zulassung definierten Patientenpopulationen sind beide Arzneimittel (Zolgensma® und Itvisma®) gleichermaßen für Patienten ab 2 Jahren mit 5q-assoziierter SMA mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA oder bis zu 3 Kopien des *SMN2*-Gens zugelassen. Diese Patientenpopulation war bereits Bestandteil der Nutzenbewertung von Onasemnogen abeparvovec (Zolgensma®).

Durch die Zulassung von Itvisma® kommt nun eine neue Patientenpopulation hinzu, die von dem Wirkstoff Onasemnogen abeparvovec profitieren wird: **Patienten ab einem Alter von**

2 Jahren mit 5q-assoziierter SMA mit ≥ 4 Kopien des *SMN2*-Gens und SMA Typ 2, Typ 3, Typ 4 bzw. ohne definierten Typ.

Aufgrund der wirkstoffspezifischen Durchführung der Nutzenbewertung und der bereits bewerteten Patientenpopulation ergibt sich, dass für Itvisma® nur diejenige Patientenpopulation dem Geltungsbereich dieser frühen Nutzenbewertung unterliegt, die bislang nicht Bestandteil der frühen Nutzenbewertung von Onasemnogen abeparvovec war. Dabei handelt es sich um Patienten ab einem Alter von 2 Jahren mit 5q-assoziierter SMA mit ≥ 4 Kopien des *SMN2*-Gens und SMA Typ 2, Typ 3, Typ 4 bzw. ohne definierten Typ. Das vorliegende Dossier bezieht sich daher ausschließlich auf diese bisher noch nicht bewertete Patientenpopulation für den Wirkstoff Onasemnogen abeparvovec.

2.1.1 Administrative Angaben zum Arzneimittel

Geben Sie in Tabelle 2-1 den Namen des Wirkstoffs, den Handelsnamen und den ATC-Code für das zu bewertende Arzneimittel an.

Tabelle 2-1: Allgemeine Angaben zum zu bewertenden Arzneimittel

Wirkstoff:	**Onasemnogen abeparvovec**
Handelsname:	**Itvisma®**
ATC-Code:	**M09AX09**

Geben Sie in der nachfolgenden Tabelle 2-2 an, welche PZN und welche Zulassungsnummern dem zu bewertenden Arzneimittel zuzuordnen sind, und benennen Sie dabei die zugehörige Wirkstärke und Packungsgröße. Fügen Sie für jede PZN eine neue Zeile ein.

Tabelle 2-2: Pharmazentralnummern und Zulassungsnummern für das zu bewertende Arzneimittel

PZN	Zulassungsnummer	Wirkstärke	Packungsgröße
20407620	EU/1/26/2038/001	$1{,}2 \times 10^{14}$ Vektorgenome Injektionslösung	1 Durchstechflasche à 3,0 ml

2.1.2 Angaben zum Wirkmechanismus des Arzneimittels

Beschreiben Sie den Wirkmechanismus des zu bewertenden Arzneimittels. Begründen Sie Ihre Angaben unter Nennung der verwendeten Quellen.

Sofern Informationen zum Wirkmechanismus des Arzneimittels im EU-Dossier hinterlegt sind und diese Grundlage der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V sein sollen, ist auf die entsprechenden Abschnitte des EU-Dossiers zu verweisen.

Informationen zum Wirkmechanismus von Onasemnogen abeparvovec sind im EU-Dossier (JCA-MP-2024-12 Version 0.4) im Abschnitt

- 2.2.1 Characteristics of the medicinal product (S. 91 – 92)

hinterlegt [4].

2.2 Zugelassene Anwendungsgebiete

2.2.1 Anwendungsgebiete, auf die sich das Dossier bezieht

Benennen Sie in der nachfolgenden Tabelle 2-3 die Anwendungsgebiete, auf die sich das vorliegende Dossier bezieht. Geben Sie hierzu den deutschen Wortlaut der Fachinformation an. Sofern im Abschnitt „Anwendungsgebiete" der Fachinformation Verweise enthalten sind, führen Sie auch den Wortlaut an, auf den verwiesen wird. Fügen Sie für jedes Anwendungsgebiet eine neue Zeile ein, und vergeben Sie eine Kodierung (fortlaufende Bezeichnung von „A" bis „Z") [Anmerkung: Diese Kodierung ist für die übrigen Module des Dossiers entsprechend zu verwenden].

Tabelle 2-3: Zugelassene Anwendungsgebiete, auf die sich das Dossier bezieht

Anwendungsgebiet (deutscher Wortlaut der Fachinformation inklusive Wortlaut bei Verweisen)	**orphan (ja / nein)**	**Datum der Zulassungserteilung**	**Kodierung im Dossier[a]**
Itvisma wird angewendet zur Behandlung von Patienten ab 2 Jahren und älter mit 5q-assoziierter spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen. <u>Bewertungsrelevante Patientenpopulation:</u> Patienten ab einem Alter von 2 Jahren mit 5q-assoziierter SMA mit ≥ 4 Kopien des *SMN2*-Gens und SMA Typ 2, Typ 3, Typ 4 bzw. ohne definierten Typ	nein	30.06.2026	B
a: Fortlaufende Angabe „A" bis „Z".			

Benennen Sie die den Angaben in Tabelle 2-3 zugrunde gelegten Quellen.

Die in Tabelle 2-3 genannten Informationen stammen aus der Fachinformation von Onasemnogen abeparvovec (Itvisma®) [3] und aus dem Zulassungsbescheid der Europäischen Kommission für Itvisma® [5].

2.2.2 Weitere in Deutschland zugelassene Anwendungsgebiete

Falls es sich um ein Dossier zu einem neuen Anwendungsgebiet eines bereits zugelassenen Arzneimittels handelt, benennen Sie in der nachfolgenden Tabelle 2-4 die weiteren in Deutschland zugelassenen Anwendungsgebiete des zu bewertenden Arzneimittels. Geben Sie hierzu den deutschen Wortlaut der Fachinformation an; sofern im Abschnitt „Anwendungsgebiete" der Fachinformation Verweise enthalten sind, führen Sie auch den Wortlaut an, auf den verwiesen wird. Fügen Sie dabei für jedes Anwendungsgebiet eine neue Zeile ein. Falls es kein weiteres zugelassenes Anwendungsgebiet gibt oder es sich nicht um ein Dossier zu einem neuen Anwendungsgebiet eines bereits zugelassenen Arzneimittels handelt, fügen Sie in der ersten Zeile unter „Anwendungsgebiet" „kein weiteres Anwendungsgebiet" ein.

Tabelle 2-4: Weitere in Deutschland zugelassene Anwendungsgebiete des zu bewertenden Arzneimittels

Anwendungsgebiet (deutscher Wortlaut der Fachinformation inklusive Wortlaut bei Verweisen)	**Datum der Zulassungserteilung**
Die beiden zugelassenen Arzneimittel Zolgensma® und Itvisma® haben jeweils ein eigenständiges arzneimittelspezifisches zentrales Zulassungsverfahren durchlaufen, auch wenn es sich dabei um den gleichen neuen Wirkstoff Onasemnogen abeparvovec handelt.	
Zolgensma ist indiziert zur Behandlung von: - Patienten mit 5q-assoziierter spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder - Patienten mit 5q-assoziierter SMA mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen und bis zu 3 Kopien des *SMN2*-Gens.	18.05.2020

Die am 18.05.2020 erteilte bedingte Zulassung wurde am 17.05.2022 durch eine Zulassung ohne spezifische Auflagen ersetzt [6].

Benennen Sie die den Angaben in Tabelle 2-4 zugrunde gelegten Quellen. Falls es kein weiteres zugelassenes Anwendungsgebiet gibt oder es sich nicht um ein Dossier zu einem neuen Anwendungsgebiet eines bereits zugelassenen Arzneimittels handelt, geben Sie „nicht zutreffend" an.

Die in Tabelle 2-4 sowie anschließend genannten Informationen entstammen der Fachinformation von Onasemnogen abeparvovec (Zolgensma®) [1] und den Zulassungsbescheiden der Europäischen Kommission [6, 7].

2.3 Beschreibung der Informationsbeschaffung für Modul 2

Erläutern Sie an dieser Stelle das Vorgehen zur Identifikation der im Abschnitt 2.1 und im Abschnitt 2.2 genannten Quellen (Informationsbeschaffung). Sofern erforderlich, können Sie zur Beschreibung der Informationsbeschaffung weitere Quellen benennen.

Sofern Informationen zum Vorgehen der Informationsbeschaffung für Modul 2 im EU-Dossier hinterlegt sind und diese Grundlage der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V sein sollen, ist auf die entsprechenden Abschnitte des EU-Dossiers zu verweisen.

Die administrativen Angaben entstammen der Fachinformation von Onasemnogen abeparvovec (Itvisma®) [3], der ATC-Klassifikation des Wissenschaftlichen Instituts der AOK [8] sowie internen Quellen von Novartis.

Die Informationen zum Wirkmechanismus von Itvisma® sind im Abschnitt 2.2.1 Characteristics of the medicinal product (S. 91 – 92) des EU-Dossiers mit der Vorgangsnummer JCA-MP-2024-12 Version 0.4 hinterlegt [4] und entstammen der Summary of Product Characteristics (SmPC) für Itvisma®.

Die Angaben zur Zulassung von Itvisma® und Zolgensma® beruhen auf den jeweiligen Fachinformationen [1, 3] sowie den Zulassungsbescheiden der Europäischen Kommission [5-7].

2.4 Referenzliste für Modul 2

Listen Sie nachfolgend alle Quellen (zum Beispiel Publikationen), die Sie in den vorhergehenden Abschnitten angegeben haben (als fortlaufend nummerierte Liste). Verwenden Sie hierzu einen allgemein gebräuchlichen Zitierstil (zum Beispiel Vancouver oder Harvard). Geben Sie bei Fachinformationen immer den Stand des Dokuments an.

Sollten zu den Nachweisen aus dem EU-Dossier, die Grundlage der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V sein sollen, in den vorhergehenden Abschnitten Quellen im EU-Dossier hinterlegt sein, ist auf diese zu verweisen. Hierfür sind die Vorgaben zur Aufbereitung von Verweisen in Modul 5 in den Abschnitten 1.3 und 4.1 des Dokumentes zur Erstellung und Einreichung eines Dossiers (Anlage II.1) zu beachten.

1. Novartis Europharm Limited. Fachinformation Zolgensma® 2 × 10^13 Vektorgenome/ml Infusionslösung (Stand: 03/2025). 2025.
2. Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA). Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V: Onasemnogen-Abeparvovec (Überschreitung 50 Mio. € Grenze: Spinale Muskelatrophie). 2021.
3. Novartis Europharm Limited. Fachinformation Itvisma® 1,2 × 10^14 Vektorgenome Injektionslösung (Stand: 06/2026). 2026.

4. Novartis Pharma AG. Dossier of the Joint Clinical Assessment of a Medicinal Product - Intrathecal onasemnogene abeparvovec (Itvisma®) in the treatment of spinal muscular atrophy (SMA) - JCA-MP-2024-12 Version 0.4. 2025.
5. Europäische Kommission. Durchführungsbeschluss der Kommission vom 30.06.2026 über die Erteilung einer Zulassung für das Humanarzneimittel "Itvisma - Onasemnogen abeparvovec" gemäß der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 des Europäischen Parlaments und des Rates. 2026.
6. Europäische Kommission. Durchführungsbeschluss der Kommission vom 17.5.2022 zur Erteilung einer Zulassung für das Humanarzneimittel für seltene Leiden „Zolgensma - Onasemnogen Abeparvovec“ gemäß der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 des Europäischen Parlaments und des Rates und zur Aufhebung des Beschlusses C(2020)3362(final). 2022.
7. Europäische Kommission. Durchführungsbeschluss der Kommission vom 18.5.2020 über die Erteilung einer bedingten Zulassung für das Humanarzneimittel für seltene Leiden "Zolgensma - Onasemnogen Abeparvovec" gemäß der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 des Europäischen Parlaments und des Rates. 2020.
8. Wissenschaftliches Institut der AOK (WIdO). Anatomisch-therapeutischchemische Klassifikation mit Tagesdosen. Amtliche Fassung des ATC-Index mit DDD-Angaben für Deutschland im Jahr 2026. Herausgegeben vom: Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM). 2026.

Weitere Quellen für Abschnitt 2.1.2:

Weitere Quellen für diesen Abschnitt sind im EU-Dossier (JCA-MP-2024-12 Version 0.4) im Abschnitt „6 References“ auf S. 457ff hinterlegt.