



> Retouradres Postbus 320, 1110 AH Diemen

Zorginstituut Nederland
Onderzoek, Ontwikkeling &
Geneesmiddelen

Willem Dudokhof 1
1112 ZA Diemen
Postbus 320
1110 AH Diemen
www.zorginstituutnederland.nl
vragen@zinl.nl

T +31 (0)20 797 82 27

Contactpersoon
sluisgeneesmiddelen@zinl.nl

Onze referentie
2026011309

2026011309

Datum 29 mei 2026
Betreft Advies sluisplaatsing onasemnogene abeparvovec

Geachte mevrouw Hermans,

Zorginstituut Nederland adviseert u over sluisplaatsing van geneesmiddelen die voldoen aan de sluiscriteria.

Het Zorginstituut heeft risicoanalyses uitgevoerd voor de mogelijke sluisplaatsing van een geneesmiddel. Onderstaand treft u de conclusie aan. In de bijlage vindt u een uitgebreide onderbouwing van deze conclusie.

Onasemnogene abeparvovec (Itvisma) – nieuw geneesmiddel

Itvisma is geïndiceerd voor de behandeling van 5q spinale spieratrofie (SMA) met een bi-allelische mutatie in het *SMN1*-gen in patiënten van 2 jaar en ouder. Onasemnogene abeparvovec voldoet bij deze indicatie aan het sluis criterium dat het €20 miljoen of meer per jaar kost om dit geneesmiddel in heel Nederland te gebruiken bij een of meer nieuwe indicaties.

Op basis van de bovenstaande conclusie adviseert het Zorginstituut om dit geneesmiddel voor de genoemde en toekomstige indicaties op te nemen in de sluis.

Hoogachtend,

Dr. S. Kleijnen
Directeur Onderzoek, Ontwikkeling & Geneesmiddelen

Tabel 1 Risicoanalyse onasemnogene abeparvovec (nieuw geneesmiddel)

Onderwerp	Invulling	Bron
Geneesmiddel werkzame stof (merknaam)	onasemnogene abeparvovec (Itvisma)	Itvisma European Medicines Agency (EMA)
Fabrikant	Novartis Europharm Limited	Itvisma European Medicines Agency (EMA)
Indicatie CHMP	Itvisma is indicated for the treatment of 5q spinal muscular atrophy (SMA) with a bi-allelic mutation in the <i>SMN1</i> gene in patients 2 years of age and older.	Itvisma European Medicines Agency (EMA)
Indicatie in het Nederlands	Itvisma is geïndiceerd voor de behandeling van 5q spinale spieratrofie (SMA) met een bi-allelische mutatie in het <i>SMN1</i> -gen in patiënten van twee jaar en ouder.	Vertaling Zorginstituut Nederland, officiële vertaling nog niet bekend.
Datum positieve CHMP	23 april 2026	Itvisma European Medicines Agency (EMA)
Datum handelsvergunning EC	Nog niet bekend	
Aangekondigd als sluis kandidaat	Nee, ten tijde van het opstellen van de sluis kandidatenbrief voor de eerste helft van 2026 werd aangenomen dat registratie in de tweede helft van 2026 zou plaatsvinden.	
Aanvullende opmerkingen	<p>Zolgensma (de intraveneuze toedieningsvorm van onasemnogene abeparvovec) is in 2020 goedgekeurd voor de behandeling van patiënten met 5q SMA met een bi-allelische mutatie in het <i>SMN1</i>-gen, die ofwel een klinische diagnose van SMA-type 1 hebben, dan wel maximaal drie kopieën van het <i>SMN2</i>-gen hebben (1). Deze indicatie is in de sluis geplaatst (2).</p> <p>Itvisma (de intrathecale toedieningsvorm van onasemnogene abeparvovec) is goedgekeurd voor de behandeling van alle patiënten met 5q SMA met een bi-allelische mutatie in het <i>SMN1</i>-gen van twee jaar en ouder, ongeacht het aantal kopieën van het <i>SMN2</i>-gen (3). Itvisma is daarmee ook goedgekeurd voor patiënten van twee jaar en ouder met 5q SMA met een bi-allelische mutatie in het <i>SMN1</i>-gen die geen diagnose van SMA-type 1 hebben en vier of meer kopieën van het <i>SMN2</i>-gen hebben.</p> <p>Deze aanvullende patiëntgroep valt niet onder de huidige indicatie van Zolgensma en ook niet onder de eerdere sluisplaatsing. Deze risicoanalyse heeft daarom betrekking op deze aanvullende patiëntgroep.</p>	<p>Zolgensma European Medicines Agency (EMA) (1); Stcrt. 2020, nr. 25822 (2); Itvisma European Medicines Agency (EMA) (3).</p>

Onderwerp	Invulling	Bron
Patiëntvolume	<p>Ieder jaar worden 15 tot 20 kinderen geboren met SMA (1). 13% van de patiënten heeft vier kopieën van het <i>SMN2</i>-gen (2). Dit zijn ongeveer twee á drie nieuwe patiënten per jaar. Het SMA-register telt 450 levende patiënten (1). Er zijn ongeveer $450 \times 13\% = 59$ patiënten zijn met 5q SMA met een bi-allelische mutatie in het <i>SMN1</i>-gen met vier kopieën van het <i>SMN2</i>-gen.</p> <p>Dit is mogelijk een onderschatting van het patiëntvolume, omdat er hierbij geen rekening is gehouden met patiënten met vijf of meer kopieën van het <i>SMN2</i>-gen.</p> <p>Er wordt uitgegaan van een prevalentie groep van 59 patiënten.</p>	Nederlands SMA-register, data van 21 mei 2026 (1); Hieprikscreening (2).
Dosering en behandelduur	Eenmalige intrathecale injectie.	Package Insert and Information for Patients - ITVISMA
Behandelkosten	<p>De lijstprijs van Zolgensma is €1.945.000 (exclusief BTW) (1). De prijs van Itvisma zal gelijk zijn aan Zolgensma (2). In het eerste, duurste jaar lopen de kosten op tot $€1.945.000 \times 59 = €114.755.000$.</p> <p>Het maximale risico bedraagt €114.755.000.</p>	Medicijnkosten.nl (1); Fabrikant (2).
Sluis n.a.v €50.000/€10mln of €20mln criterium	Onasemnogene abeparvovec voldoet bij deze indicatie aan het sluis criterium dat het €20 miljoen of meer per jaar kost om dit geneesmiddel in heel Nederland te gebruiken bij een of meer nieuwe indicaties.	