

Bijsluiter: informatie voor de gebruiker

Itvisma® $1,2 \times 10^{14}$ vectorgenomen oplossing voor injectie onasemnogene abeparvovec

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld. U kunt hieraan bijdragen door melding te maken van alle bijwerkingen die u of uw kind eventueel zou ervaren. Aan het einde van rubriek 4 leest u hoe u dat kunt doen.

Als u de verzorger bent van een kind dat Itvisma toegediend zal krijgen, let dan op dat wanneer er ‘u’ in de bijsluiter staat, dit verwijst naar het kind, behalve als het anders wordt vermeld.

Lees goed de hele bijsluiter voordat u dit geneesmiddel krijgt toegediend want er staat belangrijke informatie in.

- Bewaar deze bijsluiter. Misschien heeft u hem later weer nodig.
- Heeft u nog vragen? Neem dan contact op met uw arts of verpleegkundige.
- Krijgt u last van een van de bijwerkingen die in rubriek 4 staan? Of krijgt u een bijwerking die niet in deze bijsluiter staat? Neem dan contact op met uw arts of verpleegkundige.

Inhoud van deze bijsluiter

1. Wat is Itvisma en waarvoor wordt dit middel gebruikt?
2. Wanneer mag u dit middel niet toegediend krijgen of moet u er extra voorzichtig mee zijn?
3. Hoe wordt dit middel toegediend?
4. Mogelijke bijwerkingen
5. Hoe wordt dit middel bewaard?
6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

1. Wat is Itvisma en waarvoor wordt dit middel gebruikt?

Itvisma is een type geneesmiddel dat gentherapie wordt genoemd. Het bevat de werkzame stof onasemnogene abeparvovec. Een gentherapiegeneesmiddel werkt door een gen in het lichaam te brengen om een fout in het erfelijk materiaal te herstellen. Het gen wordt afgegeven in de cellen waar het nodig is door een veranderd virus te gebruiken dat geen ziektes veroorzaakt bij mensen.

Itvisma wordt gebruikt voor de behandeling van 5q spinale spieratrofie (SMA). Dit is een zeldzame, ernstige erfelijke ziekte. Het wordt gebruikt bij volwassenen, jongeren tot 18 jaar en kinderen van 2 jaar en ouder met erfelijke mutaties (veranderingen) die een effect hebben op een gen met de naam *SMN1*.

SMA komt voor wanneer een gen dat nodig is voor de aanmaak van een onmisbaar eiwit er niet is of een afwijking heeft. Dit eiwit heet het ‘Survival Motor Neuron’ (SMN)-eiwit. Door te weinig SMN-eiwit gaan zenuwen die de spieren aansturen (motorische neuronen) dood. Hierdoor worden de spieren zwak en steeds minder sterk. Dit leidt uiteindelijk tot een verlies van beweging.

De werkzame stof in Itvisma, onasemnogene abeparvovec, werkt door een volledig werkende kopie van het SMN-gen af te geven. Dit helpt het lichaam vervolgens om genoeg SMN-eiwit te maken om de motorische neuronen te laten overleven en te laten blijven leven.

2. Wanneer mag u dit middel niet toegediend krijgen of moet u er extra voorzichtig mee zijn?

Wanneer mag u dit middel niet toegediend krijgen?

- U bent allergisch voor een van de stoffen in dit geneesmiddel. Deze stoffen kunt u vinden in rubriek 6.

Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met dit middel?

Uw arts zal vóór de behandeling een test uitvoeren om te controleren op antilichamen om te bepalen of dit geneesmiddel geschikt is voor u.

Leverproblemen

Neem contact op met uw arts of verpleegkundige voordat dit geneesmiddel toegediend wordt als u leverproblemen heeft gehad. Dit geneesmiddel kan leiden tot een verhoging van enzymen (eiwitten) die door de lever worden aangemaakt. Dit kan een teken van een leverprobleem of van schade aan de lever zijn. Vertel het uw arts meteen als u klachten opmerkt die wijzen op schade aan de lever, waaronder:

- overgeven;
- geelzucht (geel worden van de huid of het wit van de ogen);
- minder alert zijn (zie rubriek 4 'Mogelijke bijwerkingen').

Voordat de behandeling met Itvisma wordt gestart, wordt er een bloedonderzoek bij u uitgevoerd om te kijken hoe goed de lever werkt. U krijgt een type geneesmiddel dat een corticosteroïde heet (bijvoorbeeld prednisolon) om eventuele verhogingen van leverenzymen, die zich kunnen ontwikkelen nadat u Itvisma heeft gekregen, onder controle te houden (zie rubriek 3 'Hoe wordt dit middel toegediend?').

Voor minimaal 3 maanden na de behandeling zullen ook regelmatig bloedonderzoeken bij u worden uitgevoerd om veranderingen in de werking van uw lever in de gaten te houden. Deze onderzoeken worden vaker uitgevoerd in de eerste weken na toediening van Itvisma en terwijl u corticosteroïden krijgt. Daarna worden ze minder vaak uitgevoerd als de uitslagen van uw leveronderzoeken goed genoeg zijn.

Regelmatige bloedonderzoeken

Dit geneesmiddel kan het aantal bloedplaatjes verlagen (trombocytopenie). U moet letten op klachten van een laag aantal bloedplaatjes nadat u Itvisma heeft toegediend gekregen. Zoals ongewone blauwe plekken of bloedingen (zie rubriek 4 'Mogelijke bijwerkingen'). De meeste gevallen van een laag aantal bloedplaatjes deden zich voor in de eerste week na de injectie met Itvisma.

Voordat de behandeling met Itvisma wordt gestart, wordt er een bloedonderzoek bij u uitgevoerd om het aantal bloedcellen (waaronder rode bloedcellen en bloedplaatjes) in uw lichaam te controleren. Voor een periode na de behandeling zullen ook regelmatig bloedonderzoeken bij u worden uitgevoerd om veranderingen in bloedplaatjes te volgen.

Zenuwproblemen die invloed hebben op het gevoel van pijn, temperatuur en aanraking (perifere sensorische neuropathie)

Perifere sensorische neuropathie is voorgekomen met Itvisma. De klachten kunnen ongeveer 3 weken na de toediening van Itvisma optreden. Mogelijke klachten waar u op moet letten nadat u dit geneesmiddel toegediend hebt gekregen, zijn gevoelloosheid, tintelingen, prikkelingen of pijn in de armen, handen, benen en/of voeten. Vertel het uw arts meteen als u één van deze klachten krijgt.

Abnormale bloedstolling in de kleine bloedvaten (trombotische microangiopathie)

Trombotische microangiopathie kan optreden. Trombotische microangiopathie is een ernstige ziekte waarbij kleine bloedstolsels ontstaan in de kleinste bloedvaatjes van het lichaam. Het gaat vaak samen met trombocytopenie, een afname in bloedplaatjes (bestanddelen die het bloed helpen stollen en zorgen voor een korstje op een wond) en de vernietiging van rode bloedcellen. Dit kan

levensbedreigend zijn als het niet meteen behandeld wordt. Deze bloedstolsels kunnen de nieren aantasten. Uw arts wil misschien uw bloed (aantal bloedplaatjes) en uw bloeddruk controleren. Voordat de behandeling met Itvisma wordt gestart, wordt er een bloedonderzoek bij u uitgevoerd om de hoeveelheid creatinine in uw bloed te controleren. Dit geeft aan hoe goed uw nieren werken. Mogelijke klachten waar u op moet letten nadat u Itvisma heeft gekregen, zijn onder meer blauwe plekken, aanvallen (stuipen) of minder plassen. Zoek snel medische hulp als u last krijgt van één van deze klachten.

Risico op tumoren door mogelijke inbouw in het erfelijk materiaal (DNA)

Het is mogelijk dat gentherapieën zoals Itvisma worden ingebouwd in het erfelijke materiaal (DNA) van lichaamscellen. Door deze eigenschap van het middel zou Itvisma de kans op tumoren kunnen vergroten. Bespreek dit met uw arts. Als u een tumor krijgt, dan kan uw arts een monster nemen voor verder onderzoek.

Infecties

Een infectie (bijvoorbeeld verkoudheid, griep of ontsteking van de kleine luchtwegen (bronchiolitis)) vóór of na behandeling met Itvisma kan leiden tot ernstigere problemen (complicaties). Verzorgers en anderen waarmee u nauw contact heeft, moeten zich houden aan infectiepreventiemaatregelen (bijvoorbeeld handhygiëne, goede manieren voor hoesten/niezen, beperking van mogelijke contacten). U moet letten op klachten van een infectie zoals hoesten, piepende ademhaling, niezen, loopneus, keelpijn of koorts. Vertel het uw arts meteen als u merkt dat u klachten krijgt die wijzen op een infectie **vóór** of **na** de behandeling met Itvisma. Als u een infectie heeft vóór de behandeling met Itvisma, kan uw arts de behandeling uitstellen totdat de infectie is verdwenen.

Bloed-, orgaan-, weefsel- en celdonatie

Nadat u behandeld bent met Itvisma, mag u geen bloed, organen, weefsels of cellen doneren. Dit is omdat Itvisma een gentherapiegeneesmiddel is.

Gebruikt u nog andere geneesmiddelen?

Gebruikt u naast Itvisma nog andere geneesmiddelen, heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u binnenkort andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Vertel dat dan uw arts of verpleegkundige.

Vaccinaties

Omdat corticosteroïden het immuunsysteem (afweersysteem) van het lichaam kunnen aantasten, kan uw arts beslissen om de toediening van bepaalde vaccinaties uit te stellen zolang u een behandeling met corticosteroïden krijgt (zie rubriek 3 ‘Hoe wordt dit middel toegediend?’). Neem contact op met uw arts of verpleegkundige als u nog vragen heeft.

Zwangerschap en borstvoeding

Er is geen informatie over het gebruik van Itvisma bij vrouwen die zwanger zijn of vrouwen die borstvoeding geven. Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding? Neem dan contact op met uw arts voordat u met Itvisma wordt behandeld.

Rijvaardigheid en het gebruik van machines

Bent u duizelig? Rijd dan niet met de auto en gebruik geen machines (zie rubriek 4 ‘Mogelijke bijwerkingen’). Neem eerst contact op met uw arts.

Itvisma bevat natrium

Dit middel bevat minder dan 1 mmol natrium (23 mg) per 3 ml, dat wil zeggen dat het in wezen ‘natriumvrij’ is.

3. Hoe wordt dit middel toegediend?

De aanbevolen dosering Itvisma is $1,2 \times 10^{14}$ vectorgenomen (vg). Itvisma wordt slechts 1 KEER aan u toegediend.

Itvisma wordt aan u toegediend in een ziekenhuisomgeving onder het toezicht van een arts met ervaring in het behandelen van patiënten met SMA.

Itvisma wordt toegediend met een injectie in de onderrug. Deze injectie, een lumbaalpunctie genoemd, wordt gedaan door een naald in de ruimte rond het ruggenmerg te steken. U kan ook een geneesmiddel krijgen om u te laten ontspannen of slapen tijdens de toediening. Uw arts zal u voorzien van de nodige zorg na toediening van Itvisma.

Vanaf 24 uur vóór toediening van Itvisma krijgt u ook prednisolon (of een ander corticosteroïd) via de mond toegediend. De dosis corticosteroïd hangt af van uw gewicht. Uw arts berekent de totale dosis die moet toegediend worden.

U krijgt dagelijks een corticosteroïdenbehandeling toegediend voor ongeveer 2 maanden na toediening van de dosis Itvisma, of totdat uw leverenzymen tot een redelijk niveau zijn gedaald. De arts zal geleidelijk de dosis corticosteroïd verlagen totdat de behandeling volledig kan worden stopgezet. Vertel het uw arts in het geval van overgeven vóór of na het innemen van de dosis corticosteroïden. Uw arts kan dan controleren of u de volledige dosis krijgt.

Heeft u nog andere vragen? Neem dan contact op met uw arts of verpleegkundige.

4. Mogelijke bijwerkingen

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.

Zoek snel medische hulp als u één van de volgende ernstige bijwerkingen krijgt:

Vaak (komen voor bij minder dan 1 op de 10 gebruikers)

- blauwe plekken of bloedingen die langer dan normaal duren wanneer u zich heeft bezeerd – dit kunnen klachten van een laag aantal bloedplaatjes zijn (trombocytopenie)
- zenuwproblemen die invloed hebben op het gevoel van pijn, temperatuur, aanraking (perifere sensorische neuropathie)
- een doof, tintelend, prikkelend (spelden en naalden) gevoel (paresthesie)
- minder gevoel in de huid bij aanraken (hypo-esthesie)

Neem contact op met uw arts of verpleegkundige als u andere bijwerkingen krijgt, zoals:

Zeer vaak (komen voor bij meer dan 1 op de 10 gebruikers)

- neus- en keelinfectie (bovenste luchtwegen)
- koorts
- overgeven
- hoofdpijn

Vaak (komen voor bij minder dan 1 op de 10 gebruikers)

- verhogingen van leverenzymen, aangetoond in bloedonderzoek
- duizelig zijn

Het melden van bijwerkingen

Krijgt u last van bijwerkingen, neem dan contact op met uw arts of verpleegkundige. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in deze bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden (zie details hieronder). Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

België

Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten
www.fagg.be
Afdeling Vigilantie:
Website: www.eenbijwerkingmelden.be
e-mail: adr@fagg-afmps.be

Nederland

Nederlands Bijwerkingen Centrum Lareb
Website: www.lareb.nl

5. Hoe wordt dit middel bewaard?

Buiten het zicht en bereik van kinderen houden.

De volgende informatie is voor beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg die het geneesmiddel zullen klaarmaken voor gebruik en toedienen.

Gebruik dit geneesmiddel niet meer na de uiterste houdbaarheidsdatum. Die vindt u op het etiket van de injectieflacon en op de doos na EXP. Daar staat een maand en een jaar. De laatste dag van die maand is de uiterste houdbaarheidsdatum.

De injectieflacon wordt bevroren getransporteerd (-60 °C of lager).

Bewaren in de oorspronkelijke doos.

Na ontvangst moet de injectieflacon meteen in de koelkast worden bewaard bij 2 °C tot 8 °C in de oorspronkelijke doos. De behandeling met Itvisma moet binnen 14 dagen na ontvangst van de injectieflacon worden opgestart.

Na ontdooien mag het geneesmiddel niet opnieuw worden ingevroren en kan het voor 14 dagen in de koelkast worden bewaard bij 2 °C tot 8 °C in de oorspronkelijke doos.

Zodra de dosis is opgetrokken in de spuit, mag deze maximaal 24 uur bij 2 °C tot 8 °C worden bewaard, inclusief een maximale tijd van 5 uur buiten de koelkast binnen deze periode van 24 uur.

Dit geneesmiddel bevat genetisch gemodificeerde organismen. Ongebruikt geneesmiddel of afvalmateriaal moet worden afgevoerd in overeenstemming met de plaatselijke richtlijnen voor de verwerking van biologisch afval. Aangezien dit geneesmiddel door een arts zal worden toegediend, is de arts verantwoordelijk voor de correcte verwijdering van het product. Als u geneesmiddelen op de juiste manier afvoert worden ze op een verantwoorde manier vernietigd en komen ze niet in het milieu terecht.

6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

Welke stoffen zitten er in dit middel?

- De werkzame stof in dit middel is onasemnogene abeparvovec. Elke injectieflacon bevat $1,2 \times 10^{14}$ vectorgenomen onasemnogene abeparvovec in 3 ml oplossing.
- De andere stoffen in dit middel zijn tromethamine, magnesiumchloride, natriumchloride, poloxameer 188, zoutzuur (voor aanpassing van de pH) en water voor injecties (zie ook rubriek 2 'Itvisma bevat natrium').

Hoe ziet Itvisma eruit en hoeveel zit er in een verpakking?

Itvisma is een heldere tot licht ondoorzichtige, kleurloze tot witachtige oplossing voor injectie.

Itvisma wordt geleverd in een doos die één injectieflacon bevat met een nominaal vulvolume van 3 ml. Elke injectieflacon is uitsluitend voor eenmalig gebruik.

Houder van de vergunning voor het in de handel brengen

Novartis Europharm Limited
Vista Building
Elm Park, Merrion Road
Dublin 4
Ierland

Fabrikant

Novartis Pharmaceutical Manufacturing GmbH
Biochemiestraße 10
6336 Langkampfen
Oostenrijk

Neem voor alle informatie over dit geneesmiddel contact op met de lokale vertegenwoordiger van de houder van de vergunning voor het in de handel brengen:

België

Novartis Pharma N.V.
Tél/Tel: +32 2 246 16 11

Nederland

Novartis Pharma B.V.
Tel: +31 88 04 52 111

Deze bijsluiter is voor het laatst goedgekeurd in 06/2026

Andere informatiebronnen

Meer informatie over dit geneesmiddel is beschikbaar op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: <https://www.ema.europa.eu>. Hier vindt u ook verwijzingen naar andere websites over zeldzame ziektes en hun behandelingen.

De volgende informatie is alleen bestemd voor beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg:

Belangrijk: Raadpleeg vóór gebruik de Samenvatting van de productkenmerken (SPC).

Elke injectieflacon is uitsluitend voor eenmalig gebruik.

Verwerking

- Itvisma moet aseptisch worden verwerkt onder steriele omstandigheden.
- Voorafgaand aan de intrathecale injectie moet Itvisma op kamertemperatuur worden gebracht. Ontdooi Itvisma in de koelkast (2 °C tot 8 °C) gedurende ongeveer 4 uur, of op kamertemperatuur (20 °C tot 25 °C) gedurende ongeveer 1 uur.
- Itvisma is een heldere tot licht ondoorzichtige, kleurloze tot witachtige oplossing. Gebruik dit geneesmiddel niet als u deeltjes, troebelheid of verkleuring opmerkt nadat het bevroren product is ontdooid en voorafgaand aan de toediening.
- Niet schudden.
- Eenmaal ontdooid mag het geneesmiddel niet meer opnieuw worden ingevroren.
- Na het ontdooien, moet Itvisma zo snel mogelijk worden toegediend. Zodra het dosisvolume is opgetrokken in de spuit, mag deze maximaal 24 uur in de koelkast (2 °C tot 8 °C) worden bewaard, inclusief een maximale tijd buiten de koelkast van 5 uur binnen de periode van 24 uur. Werp de spuit met vector weg indien deze niet binnen die periode wordt gebruikt.

Bereiding

- Dit geneesmiddel bevat genetisch gemodificeerde organismen (GGO's).
- Persoonlijke beschermingsmiddelen (inclusief handschoenen, veiligheidsbril, laboratoriumjas en armbeschermers) moeten worden gedragen bij het verwerken of toedienen van Itvisma.
- Bij het klaarmaken van de injectie moet ervoor worden gezorgd dat het oppervlak van de onderdelen die in contact komen met de Itvisma-oplossing, bestaat uit de compatibele materialen die worden vermeld in onderstaande tabel. De onderdelen van hulpmiddelen moeten geïndiceerd zijn voor intrathecaal of neuraxiaal gebruik.

Materiaalonderdelen die compatibel zijn met Itvisma

Onderdeel	Materiaal
Naald van 18 tot 19 G voor optrekken, maximaal 40 mm lang	Roestvrij staal
5 tot 10 ml spuit ^a	Polypropyleen
Spuitdop ^a	Polypropyleen, polyethyleen of methacrylaat-acrylonitril-butadien-styreen
Lumbaalnaald van 22 tot 27 G, maximaal 156 mm lang	Roestvrij staal
^a Mag niet vervaardigd zijn met polyvinylchloride (PVC), bisfenol-A (BPA), bis(2-ethylhexyl)ftalaat (DEHP) of latex	

Wijze van toediening

Voor intrathecaal gebruik. De behandeling moet intrathecaal worden toegediend met een lumbaalpunctie door beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg die ervaring hebben met het uitvoeren van lumbaalpuncties.

- Trek de inhoud van de injectieflacon vlak voor de dosering op in de spuit, verwijder de lucht uit de spuit, controleer of het doseringsvolume in de spuit 3 ml is, sluit de spuit af en lever hem af op de locatie waar de patiënt wordt geïnjecteerd.
- Indien geïndiceerd op basis van de klinische toestand van de patiënt moet sedatie worden overwogen.
- Beeldvormingstechnieken om de intrathecale injectie te geleiden kunnen worden overwogen.
- De patiënt moet vóór en na de intrathecale injectie worden onderzocht op de aanwezigheid van mogelijke aandoeningen die kunnen interageren met of het gevolg kunnen zijn van de lumbaalpunctie, om ernstige complicaties van de procedure te voorkomen.
- Verwijder vóór toediening 3 ml cerebrospinaal vocht (CSF) met een lumbaalpunctienaald.
- Itvisma wordt toegediend als een enkelvoudige intrathecale bolusinjectie in ongeveer 1 tot 2 minuten.
- Na de intrathecale injectie wordt plaatsing in de Trendelenburgpositie (afhankelijk van de klinische status van de patiënt) aanbevolen.

Onbedoelde blootstelling

Onbedoelde blootstelling aan Itvisma moet worden vermeden.

Bij onbedoelde blootstelling van de huid moet het desbetreffende gebied gedurende ten minste 15 minuten grondig worden gereinigd met water en zeep. Bij onbedoelde blootstelling van de ogen moet het desbetreffende gebied gedurende ten minste 15 minuten grondig worden gespoeld met water.

Als er Itvisma wordt gemorst, moet dit worden weggeveegd met een absorberend gaasje en moet het gebied waar is gemorst ontsmet worden met een bleekmiddeloplossing en vervolgens met alcoholdoekjes. Al het schoonmaakmateriaal moet in een dubbele zak geplaatst en vernietigd worden overeenkomstig de lokale voorschriften voor de verwerking van biologisch afval.

Verwijdering

Al het materiaal dat (mogelijk) in contact is gekomen met Itvisma (bijvoorbeeld de injectieflacon, al het materiaal dat gebruikt is voor de injectie, waaronder steriel afdek materiaal en naalden) moet worden vernietigd overeenkomstig de lokale voorschriften voor de verwerking van biologisch afval.