Zorginstituut Nederland

> Retouradres Postbus 320, 1110 AH Diemen

Aan de minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport
Postbus 20350
2500 EJ DEN HAAG

Zorginstituut Nederland
Onderzoek, Ontwikkeling en Geneesmiddelen
Team Geneesmiddelen

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

2026005486

Datum 11 maart 2026
Betreft Voortgangsrapportage voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*

Onze referentie
2026005486

Geachte mevrouw Hermans,

In deze brief lichten wij de voortgang toe van de voorwaardelijke toelating (VT) weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* van verslagjaar 2025.

Met de procedure VT weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* zet het Zorginstituut in op proactief pakketbeheer om passende zorg te bevorderen. Patiënten met een ernstige aandoening en onvervulde behandelbehoefte kunnen middels deze procedure onder voorwaarden in aanmerking komen voor vergoeding van bepaalde veelbelovende geneesmiddelen vanuit het basispakket, ondanks dat de middelen nog niet voldoen aan de stand van de wetenschap en praktijk (SWP). Nadat er voldoende bewijs is verzameld voor de toets op SWP, blijft het geneesmiddel na een positieve SWP-beoordeling en een geslaagde prijsonderhandeling in het basispakket of stroomt het na een negatieve SWP-beoordeling of een niet-geslaagde prijsonderhandeling het basispakket uit.

In 2025 waren twee geneesmiddelen voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket: ataluren (Translarna) en teduglutide (Revestive®).

Ataluren (Translarna)
In de voortgangsrapportage van verslagjaar 2024 adviseerden wij u om het VT-traject van ataluren vroegtijdig te beëindigen zodra de Europese Commissie (EC) het negatieve advies van de *Committee for Medicinal Products* (CHMP) over het vernieuwen van de marktautorisatie van ataluren zou overnemen.[1] Na een langdurig proces bij de *European Medicines Agency* (EMA), waarbij de CHMP meermaals negatief adviseerde over vernieuwing van de marktautorisatie van ataluren, besloot de EC op 28 maart 2025 om het definitieve negatieve advies van de CHMP over te nemen en de marktauthorisatie niet te vernieuwen.[2] Uit onderzoek bleek dat er geen verschil is in de effectiviteit tussen mensen die ataluren kregen en mensen die placebo kregen. Aangezien ataluren vanaf dat moment niet meer geregistreerd was in de Europese Unie (EU), konden deelnemers aan de VT ataluren niet meer krijgen. Op 17 april 2025 adviseerden

[1] Voortgangsrapportage+voorwaardelijke+toelating+weesgeneesmiddelen,+conditionals+en+exceptionals+(voortgangsrapportage+verslagjaar+2024) (1).pdf
[2] dec_160780_nl.pdf

Zorginstituut Nederland
Onderzoek, Ontwikkeling en Geneesmiddelen
Team Geneesmiddelen

Datum
11 maart 2026

Onze referentie
2026005486

wij u het VT-traject van ataluren per direct te stoppen.[3] Per 1 juni 2025 werd ataluren verwijderd uit bijlage 1B van de Regeling zorgverzekering.[4] Daarmee is de voorwaardelijke toelating tot het basispakket van de zorgverzekering van ataluren voor de behandeling van *'een ambulante verzekerde van twee jaar en ouder met spierdystrofie van Duchenne als gevolg van een nonsense-mutatie in het dystrofine-gen'* beëindigd. Alle patiënten hebben de behandeling met ataluren inmiddels beëindigd.

Teduglutide (Revestive®)
Teduglutide is vanaf 1 april 2025 tot 1 april 2030 voorwaardelijke toegelaten tot het basispakket voor de behandeling van bepaalde patiënten met het kortedarmsyndroom. In december 2025 heeft het Zorginstituut de klankbordbijeenkomst van teduglutide bijgewoond. Tijdens deze bijeenkomst is met alle betrokkenen de voortgang van en de bijzonderheden in de uitvoering van het onderzoek besproken. Daarnaast hebben we een schriftelijke voortgangsrapportage van partijen ontvangen. Op basis daarvan heeft het Zorginstituut een voortgangsrapportage opgesteld, welke als bijlage aan deze brief is toegevoegd. Het Zorginstituut ziet geen aanleiding om het VT-traject van teduglutide aan te passen of vroegtijdig te stoppen.

Vooruitblik 2026
Het Zorginstituut hoopt dit jaar in ieder geval twee nieuwe VT-trajecten te kunnen starten. Afgelopen maand adviseerden wij u om atidarsagene autotemcel (Libmeldy®) voor een specifieke groep patiënten met de zeldzame en erfelijke stofwisselingsziekte metachromatische leukodystrofie (MLD) voorwaardelijk toe te laten tot het basispakket van de zorgverzekering. Het financiële arrangement voor atidarsagene autotemcel is reeds succesvol afgesloten. Mits u het advies over atidarsagene autotemcel overneemt, zal dit VT-traject spoedig van start kunnen gaan. Risdiplam (Evrysdi®) was in 2025 aangemerkt als potentiële kandidaat voor de VT. Als de convenantsfase van risdiplam succesvol wordt doorlopen en u met de registratiehouder een verlaagde prijs gedurende VT overeenkomt, is de verwachting dat ook voor dit product in 2026 een VT-traject kan starten.

Hoogachtend,

M.J. Janssen
Voorzitter Raad van Bestuur

[3] Advies+over+vroegtijdige+beëindiging+van+voorwaardelijke+toelating+van+ataluren+(Translarna®).pdf

[4] Staatscourant 2025, 19703 | Overheid.nl > Officiële bekendmakingen

Bijlage: Voortgangsrapportage teduglutide (Revestive®) voor de behandeling van bepaalde patiënten met het kortedarmsyndroom

Zorginstituut Nederland
Onderzoek, Ontwikkeling en Geneesmiddelen
Team Geneesmiddelen

Datum
11 maart 2026

Onze referentie
2026005486

Teduglutide (Revestive®)

Teduglutide is vanaf 1 april 2025 tot 1 april 2030 voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket voor de behandeling van een specifieke groep patiënten van 6 maanden en ouder met kortedarmsyndroom. Het gaat om een patiënt van:

- 18 jaar en ouder met
  - *Inflammatory bowel disease* (IBD) als oorzaak van de darmresectie en die minstens 3x per week afhankelijk is van totaal parenterale voeding gedurende tenminste 12 maanden, of
  - een parenteraal voedingsvolume groter dan 14 liter/week gedurende tenminste 12 maanden;
- 6 maanden tot 18 jaar die tenminste voor 30% van zijn calorische en/of vloeistof- en elektrolytenbehoefte afhankelijk is van parenterale ondersteuning met geen of minimale toename in hoeveelheid enterale voeding in de afgelopen 3 maanden waarbij natuurlijke adaptatie zoveel mogelijk is uitgesloten (conform startcriteria van de beroepsgroep).

Kortedarmsyndroom is een zeldzame aandoening waarbij de dunne darm meestal grotendeels afwezig is of niet goed functioneert (darmfalen). Met name de verminderde opname van voedingsstoffen kan problemen veroorzaken, zoals diarree, gewichtsverlies en moeheid. Mensen met kortedarmsyndroom krijgen daarom vaak parenterale voeding. Langdurig gebruik hiervan kan gepaard gaan met zeldzame maar potentieel levensbedreigende complicaties, zoals aandoeningen van de lever. Verder vormt de inzet van chronische parenterale voeding een zware belasting voor de patiënt, met een negatieve impact op de kwaliteit van leven. Teduglutide bevordert herstel en normale groei van de darm waardoor de benodigde hoeveelheid totale parenterale voeding (TPV) kan worden afgebouwd.

Het aantal Nederlands patiënten dat binnen de periode van voorwaardelijke toelating met teduglutide behandeld wordt, werd geschat op maximaal 90.

Voortgang onderzoek

Onderzoeksopzet
Het betreft een prospectief, observationeel registeronderzoek met intra-patiëntvergelijkingen. De gegevens van Nederlandse patiënten worden opgenomen in de Revestive Monitor.

Aantal geïncludeerde patiënten
Vanwege leveringsproblemen van teduglutide is de daadwerkelijke inclusie begonnen op 29 september 2025. Op 31 december 2025 waren in totaal 12 patiënten geïncludeerd: 3 volwassenen en 9 kinderen. Daarnaast staan verschillende patiënten gepland voor inclusie om in 2026 met teduglutide te starten.

Beoordeling door de indicatiecommissie
In 2025 zijn 4 volwassenen beoordeeld door de indicatiecommissie. Eén patiënt voldeed niet aan de startcriteria. Het betrof een patiënt met een status na dunnedarmtransplantatie en een *high-output-ileostoma*, maar anatomisch dus

Zorginstituut Nederland
Onderzoek, Ontwikkeling en Geneesmiddelen
Team Geneesmiddelen

Datum
11 maart 2026

Onze referentie
2026005486

geen kortedarmsyndroom.

In 2025 zijn 13 kinderen beoordeeld en goedgekeurd door de indicatiecommissie. Eén kind is echter niet gestart, maar op verzoek van de ouders opgenomen om de TPV af te bouwen zonder teduglutide.

Participerende ziekenhuizen
Op basis van de huidige startcriteria komen binnen het Amsterdam UMC 25 van de 74 patiënten met kortedarmsyndroom die afhankelijk zijn van parenterale ondersteuning in aanmerking voor deelname aan de VT van teduglutide. Nog niet alle 25 patiënten zijn benaderd. Eén patiënt weigerde de behandeling en één persoon werd door het behandelteam geëxcludeerd van deelname.

Het UMC Groningen inventariseert momenteel de betreffende populatie. De verwachting is dat slechts een beperkt aantal patiënten aan de startcriteria zal voldoen.

Het Radboudumc verwijst naar verwachting 3 kinderen door naar het Amsterdam UMC voor behandeling met teduglutide.

Voorziene problemen met de voorwaardelijke vergoeding – en daarmee de dataverzameling – van teduglutide zijn opgelost
Tijdens de klankbordbijeenkomst was er onduidelijkheid over de vergoeding bij patiënten <18 jaar die gedurende de behandeling volwassen worden. Dit is opgehelderd door de artsenverklaring aan te passen.
Patiënten die gedurende de behandeling volwassen worden voldoen bij de start van de behandeling met teduglutide aan de kindercriteria (6 maanden t/m 17 jaar, ≥30% TPV-afhankelijkheid), maar vallen daar formeel niet langer onder zodra ze 18 jaar worden. Tegelijkertijd voldoen deze jongvolwassenen, juist wanneer de behandeling effectief is geweest en de TPV inmiddels wordt afgebouwd, niet aan de volwassenencriteria. Er is afgesproken om door te behandelen na transitie. Bij baseline wordt bij kinderen die gedurende de VT-periode 18 jaar worden zowel de kwaliteit-van-leven-vragenlijst voor kinderen als voor volwassenen afgenomen. Daarnaast is de artsenverklaring aangepast zodat per 1 februari geldt dat patiënten *bij de start van de behandeling* aan de bijlage 2 voorwaarden dienen te voldoen. Dit voorkomt dat patiënten bij effectieve behandeling niet meer voldoen aan de initiële criteria van de artsenverklaring en teduglutide onterecht niet meer vergoed kunnen krijgen.

Ontwikkelingen in de internationale literatuur

Er is geen nieuwe, gepubliceerde literatuur verschenen waaruit blijkt dat teduglutide bij andere subgroepen van volwassen patiënten met kortedarmsyndroom en intestinaal falen de kwaliteit van leven klinisch relevant verbetert. Ook is er momenteel nog onvoldoende direct bewijs beschikbaar om de kosteneffectiviteit van GLP-2 overtuigend aan te tonen.[5]

Sinds de start van de VT is er geen nieuwe, gepubliceerde literatuur verschenen over de (kosten)effectiviteit van teduglutide bij kinderen met kortedarmsyndroom en intestinaal falen.

[5] Cost-effectiveness of teduglutide in adult patients with short bowel syndrome - a European socioeconomic perspective - PubMed

Zorginstituut Nederland
Onderzoek, Ontwikkeling en Geneesmiddelen
Team Geneesmiddelen

Datum
11 maart 2026

Onze referentie
2026005486

Visie van de beroepsgroep

De beroepsgroep vindt de inclusiecriteria voor volwassenen te strak en oneerlijk en ziet graag dat meer patiënten toegang krijgen tot teduglutide. Voor mensen met een lager gewicht is het bijvoorbeeld onmogelijk om een parenteraal voedingsvolume groter dan 14 liter/week te hebben. Tijdens de klankbordbijeenkomst verzocht de beroepsgroep daarom om de start- en stopcriteria van teduglutide bij volwassenen aan te passen. Het Zorginstituut gaf aan het belangrijk te vinden dat partijen minimaal het komende jaar ervaring opdoen met de huidige start- en stopcriteria om te evalueren wat de effecten van teduglutide zijn bij de op dit moment afgebakende subgroep. Mochten de ervaringen positief zijn én mocht er bewijs volgen uit *peer reviewed* wetenschappelijke publicaties waaruit blijkt dat er ook andere subgroepen zijn waarbij teduglutide de kwaliteit van leven klinisch relevant verbetert, dan kan dit aanleiding geven om na een jaar de start- en stopcriteria te heroverwegen en dit voorstel voor te leggen aan de Wetenschappelijke Adviesraad Commissie Geneesmiddelen (WAR CG).

De betrokken behandelaren kunnen zich niet vinden in de redenatie van het Zorginstituut. Daarom zullen zij in een brief nader onderbouwen waarom zij van mening zijn dat de startcriteria voor VT dienen te worden verruimd. Hierin zal worden verduidelijkt om welk patiëntenaantal de verruiming zou gaan.

Onvervulde behandelbehoefte

Er is op dit moment geen alternatieve behandeling beschikbaar die voldoet aan SWP voor kinderen of volwassenen met kortedarmsyndroom en intestinaal falen. De verwachting is dat voor volwassenen in 2026 vergelijkbare middelen zoals glepaglutide en apraglutide en een *biosimilar* van teduglutide geregistreerd worden. Voor kinderen zal dit langer duren. Op dit moment is bij zowel volwassenen als kinderen nog steeds sprake van een onvervulde behandelbehoefte.

Conclusie m.b.t. de voortgang

Na een vertraagde start vanwege leveringsproblemen, worden sinds september 2025 de eerste patiënten geïncludeerd. Het Zorginstituut ziet op dit moment geen aanleiding om het VT-traject van teduglutide aan te passen of vroegtijdig te stoppen.