



## Regeling van de Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport, nr. CZ/TSZ-3065743, houdende regels ten aanzien van het verlenen van vergunningen voor het toepassen van celtransplantatie (Regeling celtransplantatie 2011)

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,

Gelet op artikel 2, eerste lid, onder a, en 5 van de Wet op bijzondere medische verrichtingen;

Besluit:

### Artikel 1

In deze regeling wordt verstaan onder:

a. *transplantatie van niet wezenlijk gemanipuleerd weefsel*: het in- of aanbrengen van weefsel waarvan de voor het beoogde klinisch gebruik relevante biologische eigenschappen, fysiologische functies of structurele eigenschappen niet zijn gewijzigd.

b. *celtransplantatie*: het in- of aanbrengen van menselijke cellen bij patiënten om hun gezondheids-toestand te verbeteren anders dan:

1. het in- of aanbrengen van menselijke cellen als onderdeel van orgaantransplantatie als bedoeld in artikel 1, onder a, van het Besluit aanwijzing bijzondere medische verrichtingen 2007 of,
2. transplantatie van niet wezenlijk gemanipuleerde weefsel;

### Artikel 2

1. In aanvulling op artikel 1, onder c en d, van het Besluit aanwijzing bijzondere medische verrichtingen 2007, is het verboden om zonder vergunning van de Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport celtransplantatie toe te passen, tenzij ten aanzien van de gebruikte cellen:

- a. een handelsvergunning op grond van artikel 40, eerste lid, van de Geneesmiddelenwet is verkregen;
- b. op grond van artikel 40, derde lid, onder d en f, van de Geneesmiddelenwet geen handelsvergunning nodig is voor het in voorraad hebben, verkopen, ter hand stellen of invoeren van het geneesmiddel; of
- c. goedkeuring van een bevoegde instantie als bedoeld in artikel 2, tweede lid, van de Wet medisch-wetenschappelijk onderzoek met mensen is verkregen voor een onderzoeksprotocol als bedoeld in artikel 2, eerste lid, van die wet, waarvan het gebruik van die cellen deel uitmaakt.

2. In afwijking van het eerste lid, wordt voor de toepassing van dit artikel onder celtransplantatie niet verstaan transplantatie van stamcellen als bedoeld in artikel 1, onder c en d, van het Besluit aanwijzing bijzondere medische verrichtingen 2007.

### Artikel 3

De behoefte aan het aantal centra waar celtransplantatie plaatsvindt is aangegeven in bijlage 1.

### Artikel 4

Voor het uitvoeren of gaan uitvoeren van celtransplantatie gelden de voorwaarden, aangegeven in bijlage 2.

### Artikel 5

Artikel 2, eerste lid, onder a, en artikel 5 van de Wet op bijzondere medische verrichtingen zijn tot op de desbetreffende vergunningaanvraag onherroepelijk is beslist, niet van toepassing op het verrichten van celtransplantatie:

- a. die reeds plaatsvond voor de datum van bekendmaking van deze regeling; en
- b. waarvoor uiterlijk vóór 1 september 2011 een vergunningaanvraag is ingediend.



---

## **Artikel 6**

De Planningsregeling stamceltransplantatie wordt ingetrokken.

## **Artikel 7**

De Regeling celtransplantatie wordt ingetrokken.

## **Artikel 8**

Deze regeling treedt in werking met ingang van 1 juli 2011, met uitzondering van artikel 7 dat in werking treedt met ingang van de eerste dag na de dagtekening van de Staatscourant waarin deze regeling wordt geplaatst.

## **Artikel 9**

Deze regeling wordt aangehaald als: Regeling celtransplantatie 2011.

Deze regeling zal met de bijlagen en de toelichting in de Staatscourant worden geplaatst.

*De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,  
E.I. Schippers.*



## BIJLAGE 1

In deze bijlage is indien mogelijk het aantal centra aangegeven waar celtransplantatie mag plaatsvinden, alsmede de spreiding daarvan over Nederland. Voor de behoefte aan celtransplantatie en de spreiding van deze centra waarin celtransplantatie plaatsvindt, is het van belang om een onderscheid te maken tussen transplantatie van hematopoïetische stamcellen, stamceltherapie en celtherapie. Deze vormen worden hieronder toegelicht.

### 1. Autologe en allogene transplantatie van hematopoïetische stamcellen uit beenmerg, perifeer bloed of navelstrengbloed voor het uitoefenen van hun oorspronkelijke functie (hematopoïetische stamceltransplantatie)

#### 1.1 Huidige situatie en verwachtingen

Op basis van de Planningsregeling stamceltransplantatie, die met voorliggende regeling wordt ingetrokken, zijn eerder vergunningen verleend voor de volgende typen van transplantaties:

- Autologe stamceltransplantaties bij volwassenen.
- Autologe stamceltransplantaties bij kinderen.
- Allogene stamceltransplantaties bij volwassenen met gebruik van stamcellen van HLA-identieke familiedonoren, van stamcellen van niet HLA-identieke familiedonoren alsmede van stamcellen van onverwante donoren (zgn. MUD).
- Allogene stamceltransplantaties bij kinderen met gebruik van stamcellen van HLA-identieke familiedonoren, van stamcellen van niet HLA-identieke familiedonoren alsmede van stamcellen van onverwante donoren (zgn. MUD).

Het onderstaande schema geeft een overzicht van de centra voor hematopoïetische stamceltransplantaties en de typen van transplantaties die zij krachtens een vergunning op grond van artikel 2 van de Wet op bijzondere medische verrichtingen (WBMV) verrichten.

	Centra voor hematopoïetische stamceltransplantaties	A	B	C	D
1	Academisch Medisch Centrum, Amsterdam	x	x	x	
2	Erasmus Medisch Centrum, Rotterdam	x	x	x	
3	Universitair Medisch Centrum Utrecht	x	x	x	x
4	UMC St Radboud, Nijmegen	x	x	x	x
5	Leids Universitair Medisch Centrum	x	x	x	x
6	Universitair Medisch Centrum Groningen	x	x	x	
7	academisch ziekenhuis Maastricht	x		x	
8	VU medisch centrum, Amsterdam	x	x	x	
9	HagaZiekenhuis, Den Haag	x			
10	Isala klinieken, Zwolle	x			
11	NKI-AVL, Amsterdam	x			
12	Medisch Spectrum Twente, Enschede	x			
13	St. Antonius Ziekenhuis, Nieuwegein	x			

Demografische ontwikkelingen (bevolkingsgroei en leeftijdsopbouw) en ontwikkelingen ten aanzien van de prevalentie van aandoeningen leiden tot de verwachting dat het aantal patiënten dat voor stamceltransplantatie in aanmerking komt, geleidelijk groeit. De benodigde capaciteitsbehoefte wordt echter ook bepaald door ontwikkelingen op het gebied van indicatiestellingen. De kennis over de toepassingsmogelijkheden van stamceltransplantaties neemt momenteel toe, wat vroeg of laat van invloed zal zijn op de indicatiengebieden voor de vier verschillende typen hematopoïetische stamceltransplantaties. Een ruimere indicatiestelling zal leiden tot een toename van de behoefte. Daar staat tegenover dat het aantal transplantaties en bijgevolg ook de capaciteitsbehoefte bij de behandeling met stamcellen van solide tumoren afneemt vanwege tegenvallende resultaten. Met geneesmiddelen die op de markt zijn toegelaten, zijn dikwijls betere resultaten te bereiken. Een en ander leidt ertoe dat het aantal en de spreiding van hiervoor genoemde 13 centra over Nederland voor de komende jaren voorsnog als voldoende kunnen worden beoordeeld.

#### 1.2 Vergunningverlening

Gelet op de onder 1.1 beschreven verwachtingen komen andere centra dan die in het overzicht zijn opgenomen niet voor een vergunning voor uitvoering van hematopoïetische stamceltransplantatie in aanmerking, en blijft uitvoering daarvan in die andere centra derhalve verboden. Volledigheidshalve merk ik nog op dat in bepaalde gevallen de uitvoering van hematopoïetische stamceltransplantatie desalniettemin verboden kan zijn op grond van andere regelgeving.



## **2. Transplantatie van stamcellen om ze te differentiëren tot cellen voor het genereren of regenereren van weefsels of organen (stamceltherapie)**

### **2.1 Huidige situatie en verwachtingen**

Stamceltherapie is een veelbelovende therapie. Sinds de Planningsregeling stamceltransplantatie van kracht werd, is het aandachtsgebied voor stamcelonderzoek fors uitgebreid tot veel verschillende aandoeningen. Er zijn toenemende indicaties waarvoor stamcellen in onderzoeksverband gebruikt worden.

De ontwikkelingen met betrekking tot stamceltherapie gaan snel. Momenteel bevinden de onderzoeken zich met name in een preklinische fase, maar er zijn ook onderzoeken die de klinische fase hebben bereikt.

De verwachting is dat binnen afzienbare tijd geneesmiddelen voor de klinische toepassing van stamceltherapie buiten de context van onderzoek zullen worden toegelaten tot de Europese Unie. Deze regeling houdt hier rekening mee.

### **2.2 Vergunningplicht**

De uitbreiding van het indicatiegebied voor stamceltherapie leidt tot een toename van de behoefte aan klinische toepassing ervan, zowel binnen als buiten onderzoeksverband. Deze regeling voorziet hierin. De aan een vergunning verbonden criteria hebben tot doel te borgen dat in de centra alleen veilige en werkzame zorg wordt verleend.

Hierbij worden de hierna genoemde twee categorieën onderscheiden.

#### **2.2.1 Vergunningen voor klinische toepassing van stamceltherapie in de onderzoeksfase**

Op basis van de vorige Planningsregeling stamceltransplantatie is aan de universitair medische centra (UMC's) alsmede het Nederlands Kanker Instituut (NKI) een vergunning verleend voor klinisch stamcelonderzoek. Deze centra hebben een grote expertise op het gebied van het hanteren van (hematopoïetische) stamcellen.

Ik signaleer ook bij centra buiten de kring van de UMC's en het NKI serieuze initiatieven tot klinisch onderzoek op het gebied van stamceltherapie. Ook deze centra dienen de kansen te krijgen om dergelijk stamcelonderzoek uit te voeren. Deze centra kunnen onder voorwaarden in aanmerking komen voor een vergunning voor de duur van het onderzoek.

#### **2.2.2 Vergunningen voor klinische toepassing van stamceltherapie buiten de context van onderzoek**

Bij geneesmiddelen voor klinische toepassing van stamceltherapie buiten de context van onderzoek gaat het om:

### **I. Geneesmiddelen voor geavanceerde therapieën die ingevolge verordening (EG) 1394/2007<sup>1</sup>, zijn beoordeeld en toegelaten tot de Europese Gemeenschap**

Nieuwe wetenschappelijke vooruitgang op biotechnologisch gebied heeft geleid tot meer geavanceerde therapieën, zoals gen- en celtherapie. Een geavanceerde therapie met een therapeutische of profylactische eigenschap, of met invloed op fysiologische functies, wordt als geneesmiddel beschouwd. Een geneesmiddel voor geavanceerde therapie als bedoeld in verordening (EG) 1394/2007 is een geneesmiddel dat wezenlijk gemanipuleerde menselijke cellen of weefsels, of gerecombineerd DNA bevat. Bijlage 1 van de verordening (EG) 1394/2007 geeft een opsomming van de manipulaties die niet wezenlijk zijn (bijv. snijden, filtreren).

Verordening (EG) 1394/2007 bepaalt dat een ATMP alleen volgens de centrale procedure, dus via het Europees Geneesmiddelenbureau (European Medicines Agency, EMA), geregistreerd kan worden (en niet nationaal of via een decentrale of wederzijdse erkenningsprocedure). Vanwege de nieuwheid, complexiteit en technische specificiteit van ATMP's, waardoor specifieke deskundigheid noodzakelijk is en geharmoniseerde regels nodig zijn om het vrije verkeer van deze geneesmiddelen in de Europese Unie te waarborgen, bleek het noodzakelijk dit apart te regelen in een verordening.

De Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) is het onderdeel van het EMA waarin alle lidstaten van de EU zijn vertegenwoordigd, en dat verantwoordelijk is voor de wetenschappelijke beoordeling van de kwaliteit en de afweging van de veiligheid vs. de werkzaamheid van een geneesmiddel dat is aangemeld voor de centrale registratieprocedure. Voor de beoordeling van ATMP's is veelal zeer specifieke deskundigheid vereist, die niet beperkt blijft tot het traditionele farmaceutische

<sup>1</sup> Verordening (EG) nr. 1394/2007 van het Europees Parlement en de Raad van 13 november 2007 betreffende geneesmiddelen voor geavanceerde therapie en tot wijziging van Richtlijn 2001/83/EG en Verordening (EG) nr. 726/2004 (PbEU 2007, L 324).



gebied. Daarom is er binnen het EMA een Comité voor geavanceerde therapieën (Committee for advanced therapy medicinal products) ingesteld, dat verantwoordelijk is voor het adviseren van de CHMP als het gaat om de beoordeling van ATMP's. Na een positieve beoordeling door de CHMP wordt door de Europese Commissie de uiteindelijke handelsvergunning verleend.

ATMP's, uitgezonderd de weefselmanipulatieproducten, die op 30 december 2008 overeenkomstig de nationale of communautaire wetgeving rechtmatig in de Gemeenschap in de handel waren, moeten uiterlijk op 30 december 2011 aan de bepalingen van verordening (EG) 1394/2007 voldoen. Zo ook moeten weefselmanipulatieproducten die regelmatig op de markt van de Gemeenschap in de handel waren overeenkomstig op 30 december 2008 geldende nationale of communautaire wetgeving uiterlijk op 30 december 2012 aan de bepalingen van verordening (EG) 1394/2007 voldoen. Dit betekent dat een ATMP na deze overgangstermijnen ofwel centraal geregistreerd moet zijn ofwel als 'ziekenhuisuitzondering' door de IGZ moet zijn goedgekeurd (zie II a).

## **II. Geneesmiddelen die (nog) niet op grond van verordening (EG) 1394/2007 zijn toegelaten**

Bij uitzondering kunnen ook (nog) niet toegelaten geneesmiddelen worden voorgeschreven voor klinische bereiding en toepassing buiten de context van onderzoek. Hierbij kunnen worden onderscheiden:

### **a. Ziekenhuisuitzondering in Nederland; de zgn. hospital exemption**

In bepaalde situaties kan een uitzondering worden gemaakt op de eis dat het ATMP een handelsvergunning via de centrale Europese procedure moet hebben. De uitzondering wordt in verordening (EG) 1394/2007 omschreven als de zogenaamde 'ziekenhuisuitzondering' (meestal aangeduid met de Engelse term 'hospital exemption'). Voor Nederland is in de Geneesmiddelenwet omschreven voor welke ATMP's een hospital exemption van toepassing kan zijn. Artikel 40, derde lid, onder d, van de Geneesmiddelenwet omschrijft deze als: 'geneesmiddelen voor geavanceerde therapie die met toestemming van het Staatstoezicht op de volksgezondheid worden bereid door een fabrikant volgens een recept voor een op bestelling gemaakt geneesmiddel dat voor een bepaalde patiënt op niet routinematige basis volgens specifieke kwaliteitsnormen en binnen dezelfde lidstaat in een ziekenhuis wordt gebruikt onder de exclusieve professionele verantwoordelijkheid van een arts'.

De Inspectie voor de Gezondheidszorg (IGZ) moet de bereiding en het gebruik van producten onder de hospital exemption goedkeuren.

### **b. Compassionate use programma.**

Indien het een nog niet geregistreerd ATMP betreft voor een chronische of levensbedreigende aandoening, waarvoor geen bij de patiënt minstens even goed werkend alternatief geregistreerd geneesmiddel op de markt is en het schrijnende gevallen van patiënten betreft, biedt de Geneesmiddelenwet, in artikel 40, derde lid, onder f, de mogelijkheid om het ongeregistreerde middel tijdelijk voor een cohort toe te staan. De goedkeuring voor een zogenaamd compassionate use' programma wordt verleend door het College ter beoordeling van geneesmiddelen (CBG) op voorwaarde dat het een middel – in dit geval ATMP – betreft waarvoor een aanvraag voor een handelsvergunning is ingediend en de registratie spoedig zal volgen.

Ik zal aan centra op basis van de onderhavige regeling een vergunning op grond van artikel 2 WBMV verstrekken om een geneesmiddel voor klinische toepassing van stamceltherapie buiten de context van onderzoek toe te dienen indien uit de vergunningaanvraag blijkt dat het geneesmiddel behoort tot een van de drie hierboven onder I en II genoemde categorieën en mits het gebruik van het geneesmiddel niet verboden is op grond van overige regelgeving, zoals artikel 6a van de WBMV.

Bij vergunningaanvragen van centra die stamceltherapie willen toepassen buiten de context van onderzoek en waarvan de te gebruiken geneesmiddelen niet vallen onder een van de drie hierboven genoemde categorieën zal ik, alvorens een besluit over het verlenen van een vergunning te nemen, de aanvraag toetsen op veiligheid en werkzaamheid.

## **3. Het transplanteren van gedifferentieerde menselijke cellen om ziekten of aandoeningen te voorkomen of te bestrijden (celtherapie)**

### **3.1 Huidige situatie en verwachtingen**

Voor het bestrijden van ziekten of aandoeningen richten de onderzoeken zich niet alleen op het transplanteren van stamcellen (stamceltherapie) maar ook op het transplanteren van verder gedifferentieerde menselijke cellen (celtherapie). Net als bij stamceltherapie verlopen de ontwikkelingen rond celtherapie snel. Er zijn toenemende indicaties waarvoor (bewerkte) cellen in onderzoeksverband gebruikt worden. Enkele geneesmiddelen voor de klinische toepassing van celtherapie hebben op dit moment een handelsvergunning.



---

De snelle uitbreiding van het indicatiegebied voor celtherapie betekent een grote stimulans voor centra om te starten met klinische toepassingen, zowel binnen als buiten onderzoeksverband. Voor de verdere medische vooruitgang is het van belang dat de centra hiermee kunnen doorgaan. Deze regeling voorziet hierin door alleen vormen van celtherapie onder de vergunningplicht op grond van artikel 2 WBMV te brengen, die niet elders wettelijk zijn geregeld. De bedoeling hiervan is om te kunnen toetsen of deze vormen van celtherapie voldoen aan eisen van veiligheid en werkzaamheid.

### **3.2. Vergunningplicht**

#### *3.2.1. Klinische toepassing van celtherapie binnen de context van onderzoek*

Klinische toepassing van celtherapie binnen onderzoeksverband wordt niet onder de vergunningplicht op grond van artikel 2 van de WBMV gebracht. Onderzoek naar celtherapie is reeds afdoende wettelijk geregeld. Op grond van de Wet medisch-wetenschappelijk onderzoek met mensen (WMO) dient een onderzoeksvorstel te worden voorgelegd aan een bevoegde instantie die daar haar goedkeuring aan moet geven (zie artikel 2, eerste lid, onder c van deze Regeling).

#### *3.2.2. Klinische toepassing van celtherapie buiten de context van onderzoek*

Klinische toepassing van celtherapie buiten de context van onderzoek wordt gedeeltelijk onder de vergunningplicht op grond van artikel 2 van de WBMV gebracht. Een vergunning is alleen vereist indien voor het toe te passen geneesmiddel geen handelsvergunning op grond van artikel 40, eerste lid, van de Geneesmiddelenwet is verkregen of indien het toe te passen geneesmiddel niet valt onder artikel 40, derde lid, onder d en f, van de Geneesmiddelenwet (zie artikel 2, eerste lid, onder a en b, van deze Regeling).



## BIJLAGE 2

### 1. Autologe en allogene transplantatie van hematopoietische stamcellen uit beenmerg, perifeer bloed of navelstrengbloed (hematopoietische stamceltransplantatie)

Het uitvoeren van hematopoietische stamceltransplantaties is toegestaan aan instellingen die met inachtneming van de Planningsregeling stamceltransplantatie reeds in het bezit waren van een vergunning. Daarin is opgenomen op welke te onderscheiden type stamceltransplantatie als genoemd in bijlage 1 de vergunning betrekking heeft.

Aan een vergunning worden de volgende voorschriften verbonden:

- de instelling is aangesloten bij de Stichting Hemato-Oncologie voor Volwassenen Nederland (HOVON), de 'Nederlandse Werkgroep voor Autologe Transplantaties bij Solide Tumoren' (NFAST) en de European Group for Blood and Marrow Transplantation (EBMT);
- de instelling verstrekt aan de hierboven genoemde organisaties periodiek en ten minste jaarlijks gegevens over de behandeling;
- ingeval van een stamceltransplantatiecentrum dient de instelling binnen twee jaar door het JACIE (Joint Accreditation Committee of ISCT & EBMT) volledig te zijn geaccrediteerd. Daarmee voldoet de instelling aan de kwaliteitsnormen die het JACIE aan een stamceltransplantatiecentrum stelt. Bij de toetsing voor de accreditatie dienen alle typen van transplantaties waarvoor een vergunning is verkregen, te worden betrokken;
- ingeval van een navelstrengbloedbank dient de instelling binnen twee jaar door het NetCord-FACT (International NetCord Foundation; Foundation for the Accreditation of Cellular Therapy) volledig te zijn geaccrediteerd. Daarmee voldoet de instelling aan de kwaliteitsnormen die het NetCord-FACT aan een navelstrengbloedbank stelt. Bij de toetsing voor de accreditatie dienen alle typen van transplantaties waarvoor een vergunning is verkregen, te worden betrokken;
- desgevraagd dient de instelling het accreditatierapport ter beschikking te stellen aan de Inspectie voor de Gezondheidszorg.

### 2. Klinische toepassing van stamceltherapie in de onderzoeksfase

De UMC'S en het NKI hebben op basis van de vorige Planningsregeling stamceltransplantatie al een vergunning op grond van artikel 2 WBMV voor klinisch onderzoek naar stamceltherapie. De vergunning is voor onbepaalde tijd.

Een centrum buiten de kring van UMC's en het NKI komt in aanmerking voor een vergunning om een klinisch onderzoek naar stamceltherapie uit te voeren, indien het centrum kan aantonen dat over het betreffende onderzoeksvorstel en zijn deelname daaraan positief is geoordeeld door de CCMO ingevolge de WMO. Een dergelijke vergunning is tijdelijk en geldt voor de duur van het onderzoek.

### 3. Klinische toepassing van stamceltherapie buiten de context van onderzoek

De centra komen in aanmerking voor een vergunning op grond van artikel 2 WBMV om klinische stamceltherapie buiten de context van onderzoek toe te passen, als uit de vergunningaanvraag blijkt dat de geneesmiddelen die daarvoor nodig zijn vallen onder een van de drie in bijlage 1 onder 2.2.2. genoemde categorieën. De vergunningen voor de UMC's en NKI zijn voor onbepaalde tijd.

De vergunning aan een centrum buiten de kring van UMC's en NKI is beperkt en geldt voor de stamceltherapie of -therapieën waarbij een geneesmiddel wordt toegepast dat valt onder een van de drie in bijlage 1 onder 2.2.2 genoemde categorieën.

Voor centra die een vergunning aanvragen voor klinische stamceltherapie buiten de context van onderzoek en waarvan de te gebruiken geneesmiddelen niet vallen onder een van de drie categorieën die in bijlage 1 onder 2.2.2 worden genoemd geldt de voorwaarde dat de therapie en het toe te passen product voldoen aan de eisen van veiligheid en werkzaamheid. Indien noodzakelijk zal ik over de vergunningaanvraag advies inwinnen. De af te geven vergunning aan een centrum is beperkt en geldt voor de stamceltherapie of -therapieën waarvoor het geneesmiddel bedoeld is.

### 4. Klinische toepassing van celtherapie buiten de context van onderzoek

Een centrum dient een vergunning voor klinische celtherapie buiten de context van onderzoek aan te vragen indien voor het toe te passen geneesmiddel geen handelsvergunning op grond van artikel 40, eerste lid, van de Geneesmiddelenwet is verkregen of indien het toe te passen geneesmiddel niet valt onder artikel 40, derde lid, onder d en f, van de Geneesmiddelenwet.



---

Aan de vergunningaanvraag is de voorwaarde verbonden dat de therapie en het toe te passen product dienen te voldoen aan de eisen van veiligheid en werkzaamheid. Indien noodzakelijk zal ik over de vergunningaanvraag advies inwinnen. De af te geven vergunning aan een centrum is beperkt en geldt voor de celtherapie of -therapieën waarvoor het geneesmiddel bedoeld is.





## TOELICHTING

Met deze regeling worden alle vormen van celtransplantatie onder artikel 2 van de WBMV gebracht, zowel de hematopoietische stamceltransplantatie als de transplantaties die vallen onder de termen stamceltherapie en celtherapie. Dit laatste is een uitbreiding ten opzichte van de Planningsregeling stamceltransplantatie die met de voorliggende Regeling wordt ingetrokken. Aldus is een deel van celtherapie ook onder het vergunningstelsel van de WBMV gebracht.

De Regeling haemopoietische stamceltransplantatie was eerder (in casu op 15 oktober 2005) komen te vervallen omdat op die datum de wettelijke werkingsduur op grond van artikel 2, tweede lid, van de WBMV van maximaal vier jaar was verstreken.

Hematopoietische stamceltransplantatie en stamceltherapie zijn vervolgens vergunningplichtig geworden door het opnemen ervan in het Besluit aanwijzing bijzondere medische verrichtingen 2007.

Het vergunningstelsel voor stamceltherapie is in deze regeling uitgebreid. Ook centra buiten de kring van de UMC's en het NKI kunnen nu in aanmerking komen voor een vergunning om stamceltherapie te kunnen toepassen.

De in deze regeling opgenomen criteria voor het verkrijgen van een vergunning zijn bedoeld om alleen zorg toe te laten die veilig en werkzaam is.

Ik zal voorstellen het Besluit aanwijzing bijzondere medische verrichtingen 2007 zo wijzigen dat het verbod zonder vergunning voor stamceltherapie en celtherapie alleen van toepassing is op het gebruik van (stam)cellen waarvoor geen andere wettelijke waarborgen zijn geregeld. Door deze wijziging zullen de meeste vormen buiten de vergunningplicht vallen. Voor de centra betekent dit een aanzienlijke vermindering van de regeldruk.

### **Het transplanteren van hematopoietische stamcellen om herstel van beenmergfunctie te verkrijgen en/of kwaadaardige ziekten te bestrijden**

De stamcellen die de bloedcellen aanmaken, bevinden zich vooral in het beenmerg. Een stamceltransplantatie stond daarom aanvankelijk bekend als een beenmergtransplantatie. Tegenwoordig worden beenmergstamcellen echter meestal verkregen uit het bloed van patiënten of donoren. Men spreekt dan van hematopoietische (perifeer bloed) stamceltransplantatie (PBSCT). Hematopoietische stamceltransplantatie wordt toegepast bij de behandeling van een aantal kwaadaardige bloedziekten, zoals leukemie, lymfklierkanker en de ziekte van Kahler. Soms wordt een stamceltransplantatie ook toegepast bij de behandeling van andere vormen van kanker en bij niet-kwaadaardige ziekten van het beenmerg.

Doel van al deze behandelingen is om het beenmerg van de patiënt te vervangen door gezond beenmerg en/of om de afweercellen van de donor (aanwezig in het transplantaat), in stelling te brengen tegen de kwaadaardige ziekte van de patiënt.

Een transplantatie wordt allogene genoemd als stamcellen van een familielid (familiedonor) of een niet-verwante vrijwilliger (onverwante donor) worden gebruikt, en autoloog als zij wordt uitgevoerd met stamcellen van de patiënt zelf.

### **Accreditatie JACIE of NetCord-FACT**

Zoals vermeld in bijlage 2 dient een transplantatiecentrum voor het uitvoeren van hematopoietische stamceltransplantatie binnen twee jaar na de vergunningverlening volledig geaccrediteerd te zijn door het JACIE. Onder volledige accreditatie wordt verstaan dat het centrum is geaccrediteerd voor alle stappen die bij het transplanteren zijn te onderscheiden. Indien het oogsten van de stamcellen door het transplantatiecentrum zelf wordt uitgevoerd, maakt deze stap ook deel uit van de vereiste accreditatie door het JACIE of NetCord-FACT. Indien het oogsten van de stamcellen geschiedt door een afdeling van de Stichting Sanquin, dient de desbetreffende afdeling door JACIE of NetCord-FACT geaccrediteerd te zijn voor alle stappen in het transplantatietraject.

### **Transplantatie van stamcellen om ze te differentiëren tot cellen voor het genereren of regenereren van weefsels of organen (stamceltherapie)**

Stamcellen kunnen niet alleen uit beenmerg worden gewonnen maar ook uit onder meer navelstrengbloed, vetweefsel en embryo's. Het gebruik van stamcellen uit embryo's is in Nederland op grond van de Embryowet toegestaan voor geneeskundige doeleinden en voor medisch-wetenschappelijk onderzoek. Daarbij mogen uitsluitend embryo's worden gebruikt die bij een IVF behandeling overblijven.

Stamcellen zijn cellen die zich tot verschillende soorten cellen kunnen differentiëren. Door middel van stamceltherapie zou beschadigd weefsel van bijvoorbeeld hart, lever of nieren kunnen worden hersteld met nieuwe cellen. Ook zijn er mogelijke toepassingen voor bestrijding van aandoeningen als diabetes type 1, ziekte van Parkinson, epilepsie en Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS). Van belang



---

is dat de selectie en differentiatie van stamcellen tot de gewenste cellen op een gecontroleerde manier gebeurt. Daarbij moeten spontane woekeringen of instabiele of verkeerde differentiaties worden verhinderd. Het beheersen van deze processen vereist bijzondere deskundigheid.

In ons land ontstonden klinieken die – hoewel de werkzaamheid niet wetenschappelijk was aangetoond – stamceltherapie voor uiteenlopende kwalen aanboden. De behandeling bracht gezondheidsrisico's met zich mee, die zich in de praktijk ook daadwerkelijk hebben voorgedaan. Op basis van het Besluit aanwijzing bijzondere medische verrichtingen 2007 is daarom klinische toepassing van stamceltherapie in Nederland verboden. Dit verbod blijft in deze regeling gehandhaafd. Stamceltherapie is alleen toegestaan indien een centrum daarvoor een vergunning op grond van artikel 2 WBMV heeft.

**Het transplanteren van gedifferentieerde menselijke cellen om ziekten of aandoeningen te voorkomen of te bestrijden (celtherapie)**

Net als bij stamceltherapie wil ik garanderen dat klinieken celtherapie aanbieden, die veilig en werkzaam is. Daarom heb ik celtherapie op onderdelen waar dat nodig is om verantwoorde zorg te kunnen leveren onder de vergunningplicht van de WBMV gebracht. Dat betekent dat voor die onderdelen celtherapie zonder vergunning op grond van artikel 2 WBMV verboden is. Zoals gezegd zal ik een zodanige wijziging van het Besluit aanwijzing bijzondere medische verrichtingen 2007 voorstellen om daarin de verrichting celtherapie ook nog formeel op te nemen.

*De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,  
E.I. Schippers.*