



Regeling van de Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport van 30 maart 2026, kenmerk 4365597-1095712-GMT houdende wijziging van de Regeling zorgverzekering in verband met tijdelijke opheffing van de sluis voor atidarsagene autotemcel

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,

Gelet op artikel 2.4a, vijfde lid, van het Besluit zorgverzekering;

Besluit:

ARTIKEL I

Aan artikel 2.2, eerste lid, van de Regeling zorgverzekering wordt onder vervanging van de punt aan het slot van onderdeel h door een puntkomma, een onderdeel toegevoegd, luidende:

- i. in afwijking van artikel 2.1, onderdeel k, juncto bijlage 0, onderdeel 36, atidarsagene autotemcel, voor de geneeskundige behandeling van metachromatische leukodystrofie gekenmerkt door bi-allelische mutaties in het arylsulfatase A-gen, wat leidt tot verminderde enzymatische activiteit van het arylsulfatase A-gen: bij kinderen met de vroeg-juvenile vorm, met vroege klinische manifestaties van de ziekte, met het vermogen zelfstandig te lopen en voor het begin van cognitieve achteruitgang, voor zover de verzekerde deelneemt aan onderzoek als bedoeld in het tweede lid naar deze zorg.

ARTIKEL II

Deze regeling treedt in werking met ingang van de dag na de datum van uitgifte van de Staatscourant waarin zij wordt geplaatst.

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

*De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
S.Th.M. Hermans*



TOELICHTING

1. Inleiding

Met deze wijziging van de Regeling Zorgverzekering (Rzv) wordt het geneesmiddel atidarsagene autotemcel (merknaam: Libmeldy) voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket in het kader van de voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals. Het betreft de toepassing van atidarsagene autotemcel voor de behandeling van metachromatische leukodystrofie (MLD) gekenmerkt door bi-allelische mutaties in het arylsulfatase A-gen, wat leidt tot verminderde enzymatische activiteit van het arylsulfatase A-gen, bij kinderen met de vroeg-juvenile vorm, met vroege klinische manifestaties van de ziekte, met het vermogen zelfstandig te lopen en voor het begin van cognitieve achteruitgang. Een voorwaarde voor het geneesmiddel is dat de patiënt deelneemt aan het onderzoek naar de behandeling met dit geneesmiddel.

2. Voorwaardelijke toelating atidarsagene autotemcel

Het Zorginstituut Nederland (hierna: het Zorginstituut) heeft op 26 januari 2026 positief geadviseerd over de voorwaardelijke toelating tot het basispakket van atidarsagene autotemcel voor de behandeling van metachromatische leukodystrofie (MLD) bij kinderen met de vroeg-juvenile vorm, met vroege klinische manifestaties van de ziekte, met het vermogen zelfstandig te lopen en voor het begin van cognitieve achteruitgang.¹

De benodigde afspraken voor het voorwaardelijke toelatingstraject (VT-traject) zijn in een convenant vastgelegd door de betrokken partijen (de leverancier, de beroepsgroep en de patiëntenvereniging). Ook is het Ministerie van VWS met de leverancier tot een prijsarrangement gekomen. Hiermee wordt voldoende garantie geboden om een voorwaardelijke toelating zorgvuldig en succesvol te laten verlopen. Er wordt uitgegaan van één vroeg-symptomatische MLD-patiënt in Nederland per drie tot vier jaar die binnen het VT-traject in aanmerking kan komen voor atidarsagene autotemcel. Aan het einde van het VT-traject wordt een conclusie getrokken over de stand van de wetenschap en praktijk voor atidarsagene autotemcel voor de genoemde indicatie. Het Zorginstituut doet deze beoordeling naar aanleiding van data uit het lopende internationale registeronderzoek waar ook de Nederlandse VT-patiënten aan zullen deelnemen. Indien wordt voldaan aan de stand van wetenschap en praktijk, wordt een definitief besluit genomen over opname van atidarsagene autotemcel in het verzekerde basispakket. Indien na afloop van het VT-traject hieraan niet wordt voldaan, vindt geen vergoeding meer plaats.

Conform het advies van het Zorginstituut, wordt atidarsagene autotemcel voor de genoemde indicatie voor maximaal 14 jaar voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket. Voor deze periode zijn met de leverancier van atidarsagene autotemcel financiële afspraken gemaakt. Het Zorginstituut kan een tussentijdse go/no-go beoordeling uitvoeren, welk mogelijk tot een vroegtijdige beëindiging van het VT-traject kan leiden.

3. Vervolg

Met deze wijziging van de Rzv is de tijdelijke vergoeding van atidarsagene autotemcel voor de behandeling van MLD bij kinderen met de vroeg-juvenile vorm, met vroege klinische manifestaties van de ziekte, met het vermogen zelfstandig te lopen en voor het begin van cognitieve achteruitgang vanuit de voorwaardelijke toelating opgenomen in artikel 2.2, eerste lid van de Rzv. De voorwaardelijke toelating heeft geen betrekking op de toepassing bij kinderen met laat-infantiele of vroeg-juvenile vormen zonder klinische manifestaties van de ziekte. Deze toepassing is momenteel tot 1 januari 2027 op voorwaarde van een financieel arrangement opgenomen in het basispakket. Hierbij wordt kenbaar gemaakt dat de tijdelijke vergoeding van atidarsagene autotemcel een uitzondering is op de vermelding in bijlage 0 van het Rzv.

*De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
S.Th.M. Hermans*

¹ Libmeldy is in 2024 al toegelaten tot het verzekerde pakket voor MLD-patiënten *zonder* symptomen. Het Zorginstituut adviseert nu een voorwaardelijke toelating voor patiënten met MLD met de *vroeg-symptomatische*, vroeg-juvenile vorm, die nog zelfstandig kunnen lopen en nog geen cognitieve achteruitgang hebben.