

Kenmerk: ZN-SP-2023-008

Betreft: Standpunt inzake de behandeling van SMA met onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®)

Datum: Juni 2023

=====

## Inleiding

Zorgverzekeraars Nederland (ZN) heeft voor een aantal behandelingen met dure, specialistische geneesmiddelen standpunten geformuleerd ten aanzien van de instellingen die een dergelijke behandeling willen aanbieden. De standpunten worden opgesteld door de CieBAG (de ZN-Commissie Beoordeling Add-on Geneesmiddelen) in samenspraak met de wetenschappelijke vereniging behorende bij het betreffende indicatiegebied. Zorgverzekeraars kunnen bij de inkoop gebruik maken van deze standpunten.

## Standpunt inzake de behandeling van SMA met onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®)

Onasemnogene abeparvovec heeft een add-onstatus voor de volgende indicaties:

1. *5q spinale spieratrofie met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en een klinische diagnose van SMA-type 1, mits de behandeling plaatsvindt conform de afspraken in het weesgeneesmiddelarrangement voor de behandeling van patiënten met SMA.*
2. *Presymptomatische 5q spinale spieratrofie met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen tot maximaal drie kopieën van het SMN2-gen, mits de behandeling plaatsvindt conform de afspraken in het weesgeneesmiddelarrangement voor de behandeling van patiënten met SMA.*

De CieBAG staat op het standpunt dat de behandeling met onasemnogene abeparvovec, gezien de zeldzaamheid van de aandoening en de expertise die voor deze behandeling vereist is, alleen gegeven mag worden in het volgende expertisecentrum:

- UMCU

## Toelichting op het standpunt

Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®) is geïndiceerd voor het behandelen van jonge kinderen die de ernstige spierziekte SMA type 1 hebben of die waarschijnlijk zullen krijgen. Door een erfelijke afwijking missen deze kinderen het zogenaamde SMN1-gen, wat leidt tot een tekort aan een eiwit dat nodig is om de zenuwen in het ruggenmerg te laten werken. Hierdoor sterven hun spieren af en kunnen zij zich steeds minder goed bewegen. Zolgensma® is een eenmalige gentherapie waarmee het ontbrekende gen weer wordt toegevoegd en het eiwit weer kan worden gemaakt.

In Nederland zijn er per jaar 8 tot 10 jonge kinderen met SMA type 1 die in aanmerking komen voor een behandeling met Zolgensma®.

Zie ook:

1. <https://www.smaonderzoek.nl/>
2. <https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/adviezen/2021/05/06/pakketadvies-sluisgeneesmiddel-onasemnogene-abeparvovec-zolgensma>