



Zorginstituut Nederland



Nederlandse Vereniging voor Hematologie



Weesgeneesmiddelen- arrangement exagamglogene autotemcel (Casgevy®)

voor behandeling van transfusie-
afhankelijke thalassemie en
sikkelcelziekte

Betrokken organisaties

Nederlandse Vereniging voor Hematologie (NVvH)

OSCAR Nederland

Zorgverzekeraars Nederland (ZN)

Zorginstituut Nederland

Definitief

| 2026

| Van goede zorg verzekerd |



Inleiding

Exagamglogene autotemcel (exa-cel) is goedgekeurd voor de behandeling van transfusie afhankelijke bèta-thalassemie en ernstige sikkelcelziekte gecompliceerd door frequente pijnaanvallen. Vanwege de lage prevalentie van transfusie-afhankelijke thalassemie en ernstige sikkelcelziekte en de complexe voorbereiding en behandeling met exa-cel, is besloten tot centralisatie van zorg in expertisecentra. Gezien deze centralisatie en de daarmee gepaard gaande beperkte behandelcapaciteit, is een landelijke indicatiecommissie cruciaal.

Doel van dit arrangement is dan ook het standaardiseren en centraliseren van besluitvorming over het starten van de behandeling met exa-cel bij patiënten met transfusie-afhankelijk bèta-thalassemie en ernstige sikkelcelziekte van wie wordt verwacht dat ze baat zullen hebben bij de behandeling.

Voor de indicatie thalassemie is het pakket-advies van exa-cel op 31 juli 2025 gegeven, voor de indicatie sikkelcelziekte op 25 februari 2026.¹²

Bij het vervaardigen van een weesgeneesmiddelenarrangement is Zorginstituut Nederland verantwoordelijk voor de regie op en het beheer van de passend gebruik afspraken. De beroepsgroep is samen met de andere betrokken partijen verantwoordelijk voor het maken en uitvoeren van de afspraken.

¹ <https://www.zorginstituutnederland.nl/documenten/2025/07/31/pakketadvies-sluisgeneesmiddel-exagamglogene-autotemcel-casgevy-voor-de-behandeling-van-erfelijke-bloedarmoede>.

² <https://www.zorginstituutnederland.nl/documenten/2026/02/25/pakketadvies-exagamglogene-autotemcel-casgevy-voor-de-behandeling-van-erfelijke-bloedarmoede>.

1 Afspraken over inhoud van de zorg

1.1 Behandelcriteria

Behandelcriteria thalassemie:

- Transfusie-afhankelijke bèta-thalassemie, gedefinieerd als een transfusiebehoefte van meer dan 10 eenheden bloed per jaar (of 100ml bloed/kg per jaar in de afgelopen 2 jaar) én
- Leeftijd van 12 jaar en ouder, én
- Fit genoeg voor het ondergaan van een myeloablatieve chemotherapeutische behandeling gevolgd door autologe stamceltransplantatie, én
- Ontbreken van een geschikte humaan leukocytenantigeen (HLA)-identieke donor.

Behandelcriteria sikkelcelziekte:

- Ernstige sikkelcelziekte (genotype HbSS of HbS-bèta-thalassemie) en twee of meer presentaties per jaar in het ziekenhuis met een vaso-occlusieve pijnepisode én
- Geen/onvoldoende response op hydroxyurea of intolerant hiervoor én
- Leeftijd van 12 jaar en ouder én
- Fit genoeg voor het ondergaan van een myeloablatieve chemotherapeutische behandeling gevolgd door autologe stamceltransplantatie én
- Ontbreken van een geschikte humaan leukocytenantigeen (HLA)-identieke donor.

1.2 Prioriteringscriteria

Gezien de beperkte behandelcapaciteit, moeten keuzes gemaakt worden welke patiënten als eerste behandeld gaan worden. Hiervoor zullen prioriteringscriteria worden afgesproken zodat voor alle betrokkenen helder is hoe deze afweging gemaakt gaat worden. Hieronder staan de prioriteringscriteria per ziektebeeld.

Prioriteringscriteria thalassemie:

- Patiënten zonder ijzerstapeling in hart en lever (vastgesteld met MRI), óf
- Patiënten met allo-immunisatie waardoor transfusie niet of moeizaam mogelijk is, óf
- Patiënten met moeizame veneuze toegang voor het geven van bloedtransfusies of recidiverende infecties of trombose van veneuze toegangspoorten.

Prioriteringscriteria sikkelcelziekte:

- Patiënten zonder ijzerstapeling in hart en lever (vastgesteld met MRI), óf
- Patiënten met frequente crises met een zeer grote impact op de kwaliteit van leven of gecompliceerd door ernstig acuut chest syndroom, óf
- Patiënten met progressieve orgaanschade onder behandeling met hydroxyurea en/of chronische (wissel) transfusies, óf
- Patiënten met allo-immunisatie waardoor transfusie niet of moeizaam mogelijk is, óf
- Patiënten met moeizame veneuze toegang voor het geven van bloedtransfusies of recidiverende infecties of trombose van veneuze toegangspoorten.

Prioritering thalassemie of sikkelcelziekte:

Prioritering van de behandeling met exa-cel vindt plaats op basis van het totale patiëntenprofiel, te beoordelen door de landelijke indicatiecommissie (zie verder). Hierbij kunnen soms ook andere dan de strikt medisch inhoudelijke criteria een rol spelen, zoals fitheid, mantelzorg, fertiliteitspreservatie, voorkeur van de patiënt

enzovoort. Er is geen prioritering op basis van de onderliggende ziekte (thalassemie of sikkelcelziekte).

1.3 Samen beslissen

De behandeling met exa-cel is intensief door de langdurige procedure om voldoende stamcellen te oogsten. Ook is de behandeling risicovol door de intensieve chemotherapeutische conditioneringsbehandeling die nodig is voor het teruggeven van de gemanipuleerde stamcellen.

Daarbij is het belangrijk dat de informatie voor patiënten in begrijpelijke taal is geschreven, wellicht ondersteund met visuele uitleg. Belangrijk daarin is ook aandacht voor de opnameduur, de bijwerkingen van de conditioneringsbehandeling en het effect daarvan op de vruchtbaarheid, mogelijkheden om vruchtbaarheid te behouden, en alternatieve behandelingsopties.

OSCAR Nederland ontwikkelt samen met de NVvH patiënteninformatie voor publicatie op de website. Beoogde oplevering is begin Q3 van 2026.

2 Afspraken over organisatie van de zorg

2.1 Indicatiecommissie

Er wordt een landelijke indicatiecommissie ingericht om te besluiten welke patiënten behandeld gaan worden met exa-cel, gebruik makend van de prioriteringscriteria.

De indicatiecommissie zal bestaan uit (ongeveer 20) leden van de landelijke werkgroep hemoglobinopathie behandelaren (LWHB), waarin zowel hematologen als kinderartsen uit alle behandelcentra in Nederland zitting hebben (zowel academische als niet-academische centra). Daarnaast maken ook verpleegkundigen en verpleegkundig specialisten met aandachtsgebied thalassemie en sikkelcelziekte deel uit van deze werkgroep. De LWHB komt viermaal per jaar bij elkaar waarvan eenmaal fysiek.

De indicatiecommissie valt onder de governance van de overkoepelende vereniging van de beroepsgroep, de NVvH.

Patiënten die aan de behandelvoorwaarden voldoen kunnen door kinderhematologen of internist-hematologen voorgedragen worden. Informatie over de voorgedragen patiënten moet uiterlijk één week voor de vergaderdatum online aangeleverd worden via een daartoe te ontwerpen formulier van aanmelding waarin de medische gegevens van de patiënt door de behandelend arts worden aangeleverd.

2.2 Expertisecentra

Gezien de hoge complexiteit van de behandeling, zal deze alleen in geselecteerde expertisecentra gegeven worden. Daarbij is gebruik gemaakt van de ECZA-erkenningen³ en expertise op het gebied van stamceltransplantatie bij patiënten met sikkelcelziekte en/of thalassemie.

De volgende expertisecentra zijn daarvoor geselecteerd:

Volwassen patiënten kunnen behandeld worden in het Amsterdam UMC (in ECZA register), Erasmus MC (in ECZA register). Kinderen kunnen behandeld worden in het LUMC (in ECZA register).

³ <https://www.rijksoverheid.nl/onderwerpen/kwaliteit-van-de-zorg/documenten/publicaties/2024/08/15/publicatieoverzicht-erkende-ecza>.

3 Afspraken over rapportage en register

3.1 Rapportage

Jaarlijks in maart zal de landelijke indicatiecommissie aan het Zorginstituut verslag uitbrengen van het afgelopen kalenderjaar met daarin de volgende punten:

- Het aantal patiënten dat besproken is;
- Het resultaat van de bespreking (goedkeuring/afkeuring/meer informatie opgevraagd met argumentatie);
- Eventuele aanpassingen in de behandeling of medische voorwaarden die aan potentiële kandidaten worden gesteld;
- Opvallende bevindingen of discussiepunten met betrekking tot:
 - behandelcriteria of prioritering;
 - de behandeling zelf;
 - effectiviteit en veiligheid van de behandeling;
 - patiënteninformatie en samen beslissen;
 - functioneren van de indicatiecommissie en expertisecentra;
 - dataverzameling en patiëntenregistratie in het register.

Het Zorginstituut verzendt de rapportage ook aan de partijen die bij dit weesgeneesmiddelenarrangement betrokken zijn. Indien wenselijk zal het Zorginstituut een afspraak inplannen met betrokkenen om over de rapportage van gedachten te wisselen.

3.2 Register

De behandeluitkomsten worden structureel vastgelegd in een behandelregister. Voor patiënten met sikkelcelziekte is er het landelijke kwaliteitsregister van SCORE (*Sickle Cell Outcome REsearch*). Op korte termijn zullen ook patiënten met thalassemie hieraan worden toegevoegd. Daarnaast loopt een aanvraag om dit register te registreren als landelijke kwaliteitsregistratie.⁴

De volgende informatie uit het register wordt - onder voorbehoud - gebruikt in de jaarlijkse rapportage van de expertisecentra naar betrokken partijen: (bv. leeftijd, geslacht, uitkomsten zoals transfusie-onafhankelijkheid, opname frequentie met pijnaanvallen, complicaties, cytopenieduur en kwaliteit van leven).

⁴ <https://www.landelijkekwaliteitsregistratie.nl>.