



Zorginstituut Nederland



Nederlandse Vereniging
voor Neurologie



NEDERLANDSE
VERENIGING VAN
REVALIDATIEARTSEN



SPIERZIEKTEN
NEDERLAND



Zorgverzekeraars
Nederland

Weesgeneesmiddelen- arrangement omaveloxolon (Skyclarys®)

voor ataxie van Friedreich

Betrokken organisaties

Nederlandse Vereniging voor Neurologie (NVN)
Nederlandse Vereniging van Revalidatieartsen (VRA)
Spierziekten Nederland
Zorgverzekeraars Nederland (ZN)
Zorginstituut Nederland

Definitief | 2026

| Van goede zorg verzekerd |



Inleiding

Bij patiënten met ataxie van Friedreich (FA) van 16 jaar en ouder¹ is omaveloxolon effectief gebleken als aanvulling op de huidige standaardbehandeling, welke bestaat uit 'best supportive care'. Dit staat in het GVS-advies over omaveloxolon aan VWS op 31 juli 2025.²

Behandeldoel van omaveloxolon is behoud van de lichamelijke functies (bulbair, coördinatie, stabiliteit).

Vanwege de hoge kosten, onzekerheid over welke patiënten het meeste baat hebben bij omaveloxolon en wat de optimale behandelduur is, werd in het GVS-advies aangegeven dat er afspraken moeten worden gemaakt voor gepast gebruik van omaveloxolon, een zogenaamd weesgeneesmiddelenarrangement.³

Bij het vervaardigen van een weesgeneesmiddelenarrangement is Zorginstituut Nederland verantwoordelijk voor de regie over 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 Op dit moment loopt een fase 3 onderzoek naar de effecten van omaveloxolon bij patiënten van 2-15 jaar, de BRAVE studie. Zie <https://www.curefa.org/news/community-statement-biogen-announces-brave-phase-3-pediatric-study-of-omaveloxolone>.

² <https://www.zorginstituutnederland.nl/documenten/2025/07/31/gvs-advies-omaveloxolon-skyclarys-voor-de-behandeling-van-ataxie-van-friedreich>.

³ <https://www.zorginstituutnederland.nl/wat-wij-doen/werkwijzen-en-procedures/adviseren-over-en-verduidelijken-van-het-basispakket-aan-zorg/beoordeling-van-geneesmiddelen/weesgeneesmiddelarrangementen>.

1 Afspraken over inhoud van de zorg

Aangezien nog onduidelijk is, bij welke patiënt de behandeling met omaveloxolon het meest effectief is en hoelang de behandeling zou moeten duren, onderschrijven partijen dat keuzes gemaakt moeten worden met betrekking tot starten en stoppen.

1.1 Verwijscriterium

De ernst van de ataxie is bepalend voor het starten en stoppen met de behandeling met omaveloxolon. Starten en stoppen gebeurt alleen in de twee expertisecentra (UMCG en Radboudumc, zie verder). Deze centra gebruiken de mFARS (*modified Friedreich ataxia rating scale*) als meetinstrument om de ernst van de ataxie te bepalen.

De overige centra gebruiken in de praktijk meestal de SARA (*Scale for the Assessment and Rating of Ataxia*) om de ernst van de ataxie te meten. Dit meetinstrument is minder specifiek dan de mFARS maar ook minder tijdsintensief.

Een SARA tussen 5 en 35⁴ kan worden aangehouden om patiënten te identificeren die mogelijk in aanmerking komen voor omaveloxolon, en is daarmee het belangrijkste verwijscriterium naar de expertisecentra; wanneer een verwijzing overwogen wordt, moet ook alvast rekening worden gehouden met onderstaande contra-indicaties (indien bekend).

1.2 Indicatiecriteria

We hanteren de volgende criteria om te starten met omaveloxolon:

- Bij een mFars tussen 20 en 80.
- Contra-indicaties:
 - leverfunctiestoornissen: ASAT, ALAT of bilirubine > 1.5 x bovengrens van normaal;
 - ernstig onregelde diabetes mellitus (bijv. op basis van een HbA1C >11%; eventueel in afstemming met kinderarts of internist);
 - ernstige cardiomyopathie (bijv. op basis van klinische kenmerken van hartfalen of een BNP > 200 pg/mL; eventueel in afstemming met (kinder-)cardioloog).
- Bouw de dosering omaveloxolon op van éénmaal daags 50 mg, naar 100 mg en uiteindelijk 150 mg, met een interval van 4 weken.
- Na start bij 1, 2, 3, 6, 12 maanden controle leverfunctie (ASAT, ALAT, bilirubine, alkalisch fosfatase), lipidspectrum, en – in geval van een cardiomyopathie – BNP of NT-pro-BNP.
- Neem in de overwegingen tot starten ook patiëntfactoren mee zoals slikfunctie, de mogelijkheid om regelmatig laboratoriumonderzoek te ondergaan en bereidheid tot deelname aan de registratie (zie paragraaf 3.2).

⁴ Rumney, et al. *Annals of Clinical and Translational Neurology* 2022; 9(12): 2041–2046.

1.3 Stopcriteria

We hanteren de volgende criteria om te stoppen met omaveloxolon:

- Bij toename van de ernst van de ataxie, namelijk een toename van mFARS \geq 2 punten per jaar.⁵ Bij een dergelijke meetuitkomst, moet een herhaalmeting na 3 maanden plaatsvinden om bijv. besluiten niet te baseren op heterogeniteit in respons of op tijdelijke fluctuaties.
- Als opbouwen van omaveloxolon van éénmaal daags 50 mg, naar 100 mg en uiteindelijk naar de dagdosering van 150 mg, met een interval van 4 weken, om welke reden dan ook niet lukt, dan wordt omaveloxolon afgebouwd en gestopt.
- Ernstige bijwerkingen van omaveloxolon, zoals:
 - Leverfunctiestoornissen: bij een afwijkend bilirubine is dat bij ASAT/ALAT > 3x bovengrens ASAT; bij een normaal bilirubine is dat bij ASAT/ALAT > 5x bovengrens; na het stoppen moeten de leverfuncties regelmatig worden gecontroleerd; bij normalisatie van de leverfunctie kan een stapsgewijze herintroductie overwogen worden met controle van de leverfunctie iedere twee weken;
 - Klinische tekenen van hartfalen (zoals perifeer oedeem, dyspnoe) of stijging van het BNP NT-pro-BNP; e.e.a. in samenspraak met de (kinder-)cardioloog.

1.4 Informatie voor patiënten en samen beslissen

Het belang van goede informatie over de behandeling met omaveloxolon wordt door partijen onderschreven. Op dit moment is er nog geen specifiek voorlichtingsmateriaal.

Contactpersonen van Spierziekten Nederland bepalen samen met behandelaars (NVN en VRA) welke informatie over omaveloxolon zinvol is om te vervaardigen en delen. Patiënteninformatie over de behandeling, bijwerkingen en verwachtingsmanagement zal worden geproduceerd en gedeeld op websites van Spierziekten Nederland, Radboudumc en UMCG, en eventueel als folder. Mogelijk wordt ook een webinar georganiseerd.

Planning oplevering patiënteninformatie: einde Q2 2026.

⁵Bepaling van de behandelingsduur start bij de eerste gift omaveloxolon.

2 Afspraken over organisatie van de zorg

2.1 Centrale indicatiestelling

Het instellen van een landelijke indicatiecommissie is een voorwaarde voor de behandeling met omaveloxolon. De governance, ondersteuning, samenstelling en financiering van de indicatiecommissie staat nog ter discussie en wordt op dit moment uitgewerkt. Dit geldt ook voor de (ondersteuning) van de rapportage (zie paragraaf 3.1).

De commissie zou bijvoorbeeld kunnen bestaan uit twee neurologen namens de expertisecentra en een derde neuroloog van buiten deze centra, en voorts een kinderneuroloog en (kinder)revalidatiearts. Bij ad hoc vragen kan een medisch ethicus, kinderneuroloog/kinderarts, internist, en/of (kinder-)cardioloog betrokken worden. Deze indicatiecommissie moet ingesteld worden, en commissieleden moeten in staat worden gesteld deze rol te vervullen. Secretariële ondersteuning is noodzakelijk. De indicatiecommissie vergadert als er aanvragen zijn, in de beginfase waarschijnlijk maandelijks.

Wanneer er zonder twijfel aan de start- of stopcriteria voldaan wordt, kan de behandeling worden opgestart, respectievelijk worden gestopt. De in de indicatiecommissie te bespreken patiënten zijn 'twijfelgevallen' met betrekking tot het starten of stoppen van de behandeling:

- Start, bijvoorbeeld bij:
 - Een mFARS grenswaarde rond 20 / 80;
 - Twijfel over een contra-indicatie.
- Stop, bijvoorbeeld bij:
 - Functionele progressie maar formeel geen toename van de mFARS van ≥ 2 punten per jaar, óf een toename van de mFARS van ≥ 2 punten per jaar maar geen functionele progressie;
 - Jonge patiënten met FA bij wie er sprake zou kunnen zijn van een geaccelereerde ziekteprogressie;
 - Twijfel over ernst van een bijwerking.

2.2 Expertisecentra

Gezien de lage incidentie en prevalentie van FA, zal de indicatiestelling, starten en stoppen van de behandeling vooralsnog alleen in expertisecentra plaatsvinden. Omaveloxolon wordt alleen voorgeschreven vanuit de expertisecentra.⁶

De behandeling bij elke nieuwe patiënt wordt geïnitieerd vanuit de expertisecentra. Het Radboudumc en UMCG zijn erkende expertisecentra (ECZA) voor kinderen en volwassenen met FA⁷ en zijn aangesloten bij het *European Reference Network for Rare Neurological Diseases* (ERN-RND).⁸

⁶ De zorgverzekeraar zou een apothekersverklaring kunnen gebruiken, om erop toe te zien dat het geneesmiddel alleen wordt voorgeschreven door de expertisecentra.

⁷ <https://www.rijksoverheid.nl/onderwerpen/kwaliteit-van-de-zorg/documenten/publicaties/2024/08/15/publicatieoverzicht-erkende-ecza>.

⁸ <https://www.ern-rnd.eu>.

Patiënten die (mogelijk) in aanmerking komen, kunnen door de eigen behandelaren worden verwezen. Wanneer er zonder twijfel aan de startcriteria voldaan wordt, kan de behandeling worden opgestart. De noodzakelijke laboratoriumcontroles worden zoveel mogelijk dicht bij de patiënt georganiseerd. De chronische begeleiding kan verder gewoon worden gecontinueerd zoals deze al was georganiseerd, bijv. revalidatiezorg in de eigen regio, en desgewenst kan bij een stabiele situatie de behandeling met omaveloxolon ook in de eigen regio worden voortgezet.

3 Afspraken over rapportage en register

3.1 Rapportage

In maart brengt de landelijke indicatiecommissie verslag uit aan het Zorginstituut en de betrokken partijen van het voorafgaande kalenderjaar:

- Hoe vaak is de indicatiecommissie het afgelopen jaar bijeengekomen?
- Hoeveel patiënten zijn er in totaal besproken in de commissie?
- Wat was bij de besproken patiënten de reden en het resultaat van de bespreking? Het is zinvol om de patiëntengroep in te delen in 'starters' of 'stoppers'.
- Wat zijn de ervaringen met het gebruik van een indicatiecommissie? Heeft dit meerwaarde voor de behandeling van patiënten zo ja, op welke manier? En zo nee, waarom niet?
- Traden er nieuwe en/of ernstige bijwerkingen op en zo ja hoe vaak?
- Zijn er bijzonderheden t.a.v. de in dit arrangement gemaakte afspraken?
- Daarnaast brengt de indicatiecommissie verslag uit van de registratie/monitoring van het afgelopen kalenderjaar (zie onder).

Indien wenselijk zal het Zorginstituut een afspraak inplannen met betrokkenen om over de rapportage van gedachten te wisselen.

3.2 Register

Het Radboudumc Expertisecentrum voor Zeldzame en Erfelijke Bewegingsstoornissen doet mee aan een mondiale observationele studie naar het natuurlijk beloop van FA: de 'UNIFIED Natural History Study' UNIFAI.⁹

Plug-in bij UNIFAI is de PASS-studie ('an observational, multinational, post-marketing registry of omaveloxolone-treated patients with Friedreich's ataxia').¹⁰ Deze studie wordt gecoördineerd door de *Friedreich Ataxia Research Alliance* (FARA) en is primair gericht op het monitoren van de langetermijn veiligheid van omaveloxolon, en met name cardiale en hepatische bijwerkingen. Dit lijkt voor nu een bruikbaar vehikel voor een gedeelte van de jaarlijkse monitoring van omaveloxolon bij FA.

Op dit moment opent FARA geen nieuwe sites voor de UNIFAI/PASS-studie; dit betekent dat patiënten uit het UMCG naar het Radboudumc moeten reizen, eens per jaar.

De PASS-studie legt primair de bijwerkingen vast zoals deze uit de standaardzorg rond het gebruik van omaveloxolon (zoals boven omschreven) naar voren komen, zoals het laboratoriumonderzoek. Daarnaast gaan de jaarlijkse UNIFAI-bezoeken door, waarbij uitgebreide klinimetrie (zoals mFARS, maar ook *patient-reported outcome measures* gericht op o.a. kwaliteit van leven en vermoeidheid) wordt gedaan.

Deze gegevens komen dus alleen beschikbaar voor de patiënten die toestemming hebben gegeven voor deelname aan de UNIFAI- en PASS-studie. Dit betekent voor een volledige registratie het aantal:

- patiënten met FA die zijn/worden behandeld met omaveloxolon;
- patiënten met FA die gescreend zijn maar niet in aanmerking kwamen, incl. reden;

⁹ <https://www.curefa.org/clinical-studies/friedreich-ataxia-global-clinical-consortium-unified-natural-history-study-unifai>.

¹⁰ <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06623890>.

- met omaveloxolon behandelde FA-patiënten waarbij de behandeling na een jaar of eerder wordt gestopt, incl. reden;
- met omaveloxolon behandelde FA-patiënten waarbij de behandeling na een jaar wordt voortgezet;

Hiervoor zal een apart registratiesysteem moeten worden ingericht, waarvoor infrastructuur, ondersteuning en vergoeding zal moeten worden geboden.