



Nieuwsbrief

SPINALE MUSCULAIRE ATROFIEËN (SMA)

Inhoud

1. Bijeenkomst SMA Europe
2. Overleg thuisbeademing
3. Therapie in ontwikkeling
4. Project rond complexe zorg
5. Fysiotherapie bij SMA

1. Bijeenkomst SMA Europe

Deze week vindt in Utrecht de bijeenkomst plaats van SMA-Europe. Daaraan nemen met name vertegenwoordigers deel van alle SMA-patiëntenorganisaties uit Europa. Tijdens de bijeenkomst zal natuurlijk veel gesproken worden over therapieontwikkeling en onderlinge uitwisseling van informatie. Een verslag komt op onze website te staan. De bijeenkomst is georganiseerd door Spierziekten Nederland.

2. Overleg thuisbeademing

Op verzoek van het expertisecentrum SMA heeft er in Utrecht een overleg plaats gevonden tussen de vier Centra voor Thuisbeademing, andere betrokken dienstverleners en patiëntenvertegenwoordigers. Het is namelijk goed denkbaar dat een nieuwe SMA-therapie een andere medische aanpak en een ander landelijk beleid noodzakelijk maken. Daarom is het belangrijk dat alle behandelaars op de hoogte zijn van de laatste ontwikkelingen.

3. Therapie in ontwikkeling

Zoals u weet zijn er veel bijzondere ontwikkelingen in het onderzoek naar SMA. Vier medicijnen zijn nu zover, dat ze dichtbij markttoelating zijn. Het zijn medicijnen die een gunstig effect kunnen hebben op het verloop van SMA. Het gaat om therapieën van Novartis, Roche, Avexis en Biogen.

Spinraza, het middel van Biogen, is inmiddels in de VS beschikbaar. In Europa wordt het middel door de EMA beoordeeld. Biogen heeft het goedkeuringsdossier 7 oktober 2016 bij de EMA ingediend. Het wachten is op het advies. Als dit er is, wordt dit voorgelegd aan de Europese Commissie, die binnen twee maanden een definitieve beslissing neemt. De Commissie volgt vrijwel altijd het advies van de EMA. De EMA kan verschillende beslissingen nemen: niet goedkeuren, tijdelijk goedkeuren of volledig goedkeuren voor de markt. Er kan een toelating komen voor alle typen SMA, voor een of enkele typen of voor een bepaalde leeftijdscategorie. Alle uitkomsten zijn mogelijk.

Zodra het advies bekend is, organiseren wij een voorlichtingsbijeenkomst.

Wanneer de EMA een markttoelating geeft, komt het middel in verschillende Europese landen direct beschikbaar en wordt daar ook vergoed. In Nederland komt het zeer waarschijnlijk in de zogenaamde 'productsluis' terecht. Dat betekent dat de minister advies afwacht van het Zorginstituut en prijsonderhandelingen gaat voeren met de producent. Vooruitlopend op de beslissing van de EMA is het Zorginstituut al gestart met de beoordelingsprocedure. Dat is goed nieuws, want dat betekent tijdswinst. Spierziekten Nederland is betrokken bij deze procedure.

We begrijpen dat dit traject voor velen van u tergend langzaam verloopt. Wij doen er alles aan om het proces te versnellen. We houden u samen met onze partners, het expertisecentrum SMA, Spieren voor Spieren en het Prinses Beatrix Spierfonds, op de hoogte.

- Lees de laatste updates over onderzoek naar de middelen van Biogen, Roche, Cytokinetics en Avexis op www.smaonderzoek.nl
- Een overzicht van lopende medicijnstudies leest u op de [overzichtspagina van smaonderzoek](#).

4. Project rond complexe zorg

Veel mensen met SMA hebben verschillende soorten zorg nodig die goed op elkaar moeten zijn afgestemd. Dat betekent dagelijks regel- en organisatiewerk. Met de komst van de Wlz en de Zvw zijn er problemen ontstaan, onder andere bij nachtelijk toezicht, onplanbare zorg en de indicatiestelling. In 2016 heeft Spierziekten Nederland samen met de Zorgkantoren en het ministerie van VWS onderzocht hoe de uitvoering van de wetten verbeterd kan worden. Dit najaar organiseren wij een symposium met het doel knelpunten in de regelgeving aan te passen. Wordt vervolgd.

5. Fysiotherapie

Spierziekten Nederland heeft samen met het expertisecentrum SMA een richtlijn ontwikkeld voor de behandeling van SMA type 1, die overigens voor een deel ook gebruikt kan worden bij type 2. Behalve een algemene richtlijn komen er praktische producten, zoals een brochure voor fysiotherapie bij kinderen met SMA. Hiervoor wordt ook een instructievideo gemaakt. We gaan ervan uit dat het materiaal voor de zomer beschikbaar komt.

Redactieadres

Spierziekten Nederland
Lt.gen. Van Heutszlaan 6
3743 JN Baarn
Telefoon: 035 548 04 80
sma@spierziekten.nl