



> Retouradres Postbus 320, 1110 AH Diemen

Aan de minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport
Postbus 20350
2500 EJ DEN HAAG

Zorginstituut Nederland
Zorg
Geneesmiddelen
Willem Dudokhof 1
1112 ZA Diemen
Postbus 320
1110 AH Diemen
www.zorginstituutnederland.nl
info@zinl.nl
T +31 (0)20 797 85 55

2025008932

Datum 17 april 2025
Betreft Advies over vroegtijdige beëindiging van het voorwaardelijke toelatingstraject van ataluren (Translarna®)

Onze referentie
2025008932

Geachte mevrouw Agema,

Ataluren (Translarna®) is vanaf 1 november 2021 tot 1 oktober 2025 voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket. Eerder adviseerden wij u om de voorwaardelijke toelating (VT) van ataluren vroegtijdig te beëindigen indien de Europese Commissie (EC) het negatieve advies van de *Committee for Medicinal Products for Human Use* (CHMP) overneemt.¹ Sinds 28 maart 2025 is dit het geval.² In deze brief adviseren wij u daarom het VT-traject per direct te stoppen.

Registratiegeschiedenis en verloop van het VT-traject van ataluren (Translarna®)

Op 31 juli 2014 registreerde het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) ataluren voor de behandeling van spierdystrofie van Duchenne als gevolg van een nonsense-mutatie in het dystrofine-gen (nmDMD), bij ambulante patiënten van twee jaar en ouder. Ataluren werd aangemerkt als *conditional*. Dit betekent dat het geneesmiddel onder de voorwaarde van aanvullend onderzoek werd toegelaten tot de markt.

Op 7 oktober 2021 adviseerde het Zorginstituut uw voorganger om ataluren vanaf 1 november 2021 tot 1 februari 2024 voorwaardelijk toe te laten tot het basispakket.³ Het Zorginstituut gaf aan de eindbeoordeling met een uitspraak over pakketopname te starten nádat de EC zou besluiten dat ataluren op de markt blijft. Dit had tot gevolg dat wij u tweemaal adviseerden het VT-traject te verlengen.^{4,5} In ons laatste advies van 6 augustus 2024 adviseerden wij een einddatum van 1 oktober 2025.⁴

Na een langdurig proces bij de EMA, waarbij de CHMP meermaals negatief adviseerde over vernieuwing van de marktautorisatie van ataluren, besloot de EC

¹ [Advies - Vroegtijdige beëindiging van de voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen rhPTH 1-84 \(Natpar®\) en ataluren \(Translarna®\) | Advies | Zorginstituut Nederland](#)

² [dec_160780_nl.pdf](#)

³ [Vervolgadvies over voorwaardelijke toelating van ataluren \(Translarna®\) | Advies | Zorginstituut Nederland](#)

⁴ [Advies - verleng voorwaardelijk toelatingstraject ataluren \(Translarna®\) | Advies | Zorginstituut Nederland](#)

⁵ [Advies - verleng opnieuw voorwaardelijk toelatingstraject ataluren \(Translarna®\) | Advies | Zorginstituut Nederland](#)

op 28 maart 2025 het negatieve advies van de CHMP over te nemen en de marktautorisatie niet te vernieuwen². De CHMP concludeerde dat de werkzaamheid van ataluren niet is vastgesteld voor de toegelaten indicatie, noch voor enige subpopulatie van deze indicatie. Daarmee werd een gunstige baten-risicobalans niet bevestigd. Dit betekent dat PTC Therapeutics – de registratiehouder van ataluren – vanaf dat moment ataluren niet meer mag leveren in de Europese Unie (EU) en de Europese Economische Ruimte (EER). Wel geeft de EC in zijn besluit aan dat landen individueel een beroep kunnen doen op *Articles 117(3) and 5(1)* van de *EU Directive 2001/83* voor een continuerend gebruik van ataluren. Dit valt echter buiten de scope van de VT. Nu ataluren niet meer geregistreerd is in de EU en EER, kunnen deelnemers aan de VT ataluren niet meer krijgen. Aangezien de werkzaamheid van ataluren niet is vastgesteld door de EMA, adviseren wij u om het VT-traject van ataluren per direct te stoppen.

Zorginstituut Nederland
Zorg
Geneesmiddelen

Datum
17 april 2025

Onze referentie
2025008932

Afronding van het VT-traject

Kort nadat bekend werd dat de conditionele marktautorisatie niet werd verlengd, informeerde de registratiehouder het Zorginstituut en partijen betrokken bij het VT-traject van ataluren hierover. Op 7 april kwamen zij samen om de afronding van het VT-traject te bespreken. Het is vanwege de ernst van de aandoening en de grote onvervulde medische behoefte verdrietig voor patiënten en hun naasten dat ataluren van de markt is gehaald. De behandelaren gaven aan per direct de patiënten die nog met ataluren behandeld worden te informeren. Spierziekten Nederland, de patiëntenvereniging die opkomt voor de belangen van patiënten met o.a. spierdystrofie van Duchenne, gaf aan binnen enkele weken een informatieavond voor patiënten en hun families te organiseren. De beroepsgroep en patiëntenvereniging trekken hierin samen op. Het Zorginstituut heeft er vertrouwen in dat het VT-traject op een gepaste wijze wordt afgerond en dat patiënten en hun naasten goed worden geïnformeerd en begeleid bij het stoppen van de behandeling met ataluren.

Concluderend

Omdat de werkzaamheid van ataluren volgens de EMA niet is vastgesteld voor de toegelaten indicatie, noch voor enige subpopulatie van deze indicatie, en de registratie van het middel daarom niet is vernieuwd, kan ataluren niet meer worden vergoed via VT. Wij adviseren u om het VT-traject van ataluren (Translarna®) per direct te stoppen. Het Zorginstituut voert geen pakketbeoordeling van ataluren meer uit.

Hopende u hiermee voldoende te hebben geïnformeerd.

Hoogachtend,

M.J. Janssen
Voorzitter Raad van Bestuur