



> Het oplossen waard

Verkenning knelpunten en oplossingsrichtingen
infrastructuur ATMP's in de zorgpraktijk

Colofon

Projectteam

Saskia van der Erf, Nienke van der Kooij

Projectleider: Wouter Versluijs (SiRM) - wouter.versluijs@sirm.nl

Copyright

Delen van dit rapport mogen gereproduceerd worden met de volgende bronvermelding: SiRM, Het oplossen waard, Verkenning knelpunten infrastructuur ATMP's in de zorgpraktijk, Februari 2026.

Opdrachtgever

ZonMw

Foto voorblad

Frank Muller

ANP

Managementsamenvatting

Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP's) zijn geneesmiddelen voor geavanceerde therapie, zoals cel- en gentherapie en weefseltherapie. Ze hebben een enorme potentie, omdat ze (op maat gemaakte) behandelingen kunnen bieden voor veel patiënten, ook voor aandoeningen die momenteel moeilijk of niet te behandelen zijn. Voor het aanbieden van ATMP-zorg is specifieke infrastructuur in de zorgpraktijk nodig: professionals met juiste opleiding en ervaring, en processen en apparatuur voor onder andere celafname, voor toediening gereedmaken en toediening aan de patiënt. Op dit moment passen ziekenhuizen een beperkt aantal geregistreerde en in Nederland tot het basispakket toegelaten ATMP's toe in de zorgpraktijk.

ZonMw en het ministerie van VWS vroegen SiRM een verkenning uit te voeren naar knelpunten en mogelijke oplossingsrichtingen voor de infrastructuur van geregistreerde ATMP's in de zorgpraktijk. We deden uitgebreid deskresearch, voerden ongeveer 20 (groeps)interviews, deden praktijkbezoeken bij drie universitair medische centra (UMC's) en organiseerden een verdiepingssessie waaraan ook geïnterviewden en professionals van de bezochte UMC's deelnamen. SiRM werd tijdens de verkenning bijgestaan door een begeleidingscommissie met experts uit het veld.

We concluderen dat knelpunten, die nu nog relatief overzichtelijk zijn, de toekomstbestendigheid van ATMP-zorg onder druk zetten. Het oplossen van deze knelpunten vergt inspanning van onder andere ziekenhuizen, farmaceutische firma's en overheid op meerdere sporen. Ook kan de inzet van capaciteit voor ATMP-zorg in de ziekenhuizen slimmer bij vraagtoename. Zo kan Nederland het potentieel van huidige en toekomstige geregistreerde ATMP's beter benutten.

Knelpunten

Professionals ervaren de huidige toepassing van ATMP's in de praktijk als (onnodig) belastend:

- De door de farmaceutische firma¹ voorgeschreven werkwijzen verschillen onderling en sluiten regelmatig niet aan bij de zorgpraktijk. Dit vergroot de kans op fouten en vermindert werkplezier. Overigens werkt de zorgpraktijk zelf ook niet hetzelfde, bij gebrek aan één Nederlandse standaard.
- De periodieke trainingen en audits overlappen onderling en met andere gemonitorde kwalificaties van het ziekenhuis.
- De administratieve lasten bij behandeling met ATMP's zijn hoger dan bij andere behandelingen: het sluiten van contracten met firma's en de vele registraties per behandeling vragen veel inspanning van professionals.

¹ De marketing authorisation holder, MAH

De huidige capaciteit bij UMC's lijkt voor een toename in ex vivo, *cell-based* gentherapieën niet toereikend:²

- Deze therapieën (in de huidige praktijk met name CAR T's³) vragen nu al veel inzet van schaars personeel en schaarse faciliteiten.
- De verwachting is dat het aantal behandelingen met een CAR T de komende jaren toeneemt, zowel door meer toepassing van al geregistreerde CAR T's als door nieuwe indicaties en middelen. Deze (vroegere) inzet van CAR T's zal op haar beurt weer andere behandelingen voorkomen, maar het netto-effect van deze (vroegere) inzet is nog onduidelijk.

Oplossingsrichtingen

Het verlichten van de knelpunten vergt inzet op meerdere sporen:

- Op korte termijn kunnen individuele ziekenhuizen met hulp van firma's de last van trainingen, audits en administratie iets verminderen.
- Samenwerking tussen de UMC's/UMCNL en de industrie is nodig om op middellange termijn de knelpunten te verzachten. Samen kunnen zij dubbelingen in trainingen en audits terugdringen, werkwijzen harmoniseren en modelcontracten opstellen.
- De European Medicine Agency (EMA)⁴ kan op langere termijn verlichting bieden door knelpunten die volgen uit de huidige regelgeving te adresseren. EMA kan de harmonisatie van ATMP-werkwijzen mogelijk maken en aansluiting van ATMP-dossiers bij de praktijk verbeteren.

Naast het verlichten van de knelpunten, denkt SiRM dat de inzet van capaciteit voor ATMP-zorg in de ziekenhuizen slimmer kan bij vraagtoename:

- VWS en het Zorginstituut kunnen ziekenhuizen (enig) zicht bieden op de toekomstige capaciteitsvraag door een up-to-date inschatting te maken van verwachte patiënten en bijbehorende verschuiving van zorg.
- UMC's kunnen de organisatie van hun ATMP-zorg toekomstbestendiger maken, bijvoorbeeld door het bundelen van CAR T-processen.
- UMC's kunnen onderling en met algemene ziekenhuizen afspraken maken over slimmere inzet van capaciteit voor ATMP-zorg:
 - UMC's kunnen elkaar ontlasten door te centraliseren bij kleine indicaties.
 - Perifere ziekenhuizen kunnen de druk op UMC's verlichten door het overnemen van (delen van) zorgtrajecten.

In de tabel in Bijlage 1 staan de aanbevelingen per actor (UMC's en perifere ziekenhuizen, firma's, VWS, EMA, consortia zoals ATMP-NL, en DARE-NL beroepsverenigingen en ZonMw) in meer detail.

² Gevraagd naar knelpunten rondom capaciteit noemden deelnemers aan de verkenning vooral knelpunten bij de toepassing van ex vivo, *cell-based* gentherapieën (afgekort ex vivo celtherapieën).

³ Chimeric antigen receptor T cellen.

⁴ Mogelijk ondersteund door wijzigingen in wet- en regelgeving door de Europese Commissie (EC).

Executive summary

Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) are medicines based on genes, cells and/or tissues. They hold enormous potential, as they can offer (tailor-made) treatments for many patients, including for conditions that are currently difficult or impossible to treat. Providing ATMP care requires specific infrastructure in the clinical practice: professionals with appropriate training and experience, and processes and equipment for activities such as cell collection, preparation for administration, and administration to the patient. At present, Dutch hospitals use a limited number of ATMPs that are registered and authorised in the Netherlands.

ZonMw⁵ and the Ministry of Health, Welfare and Sport (VWS) asked SiRM to carry out an exploratory study into bottlenecks and possible solution directions for the infrastructure of authorised ATMPs in healthcare practice. We carried out extensive desk research, conducted around 20 (group) interviews, undertook site visits to three university medical centres (UMCs), and organised an in-depth session attended by interviewees and professionals from the UMCs visited. SiRM was supported throughout the study by a committee of experts from the field.

We conclude that, although current bottlenecks are still relatively manageable, they already put pressure on the future of ATMP care. Addressing these issues requires coordinated effort from hospitals, pharmaceutical companies and government across multiple tracks. In addition, hospital capacity for ATMP care can be organised more strategically as demand increases. This will allow the Netherlands to better realise the potential of current and future registered ATMPs.

Bottlenecks

Professionals experience the current use of ATMPs in practice as (unnecessarily) burdensome:

- Procedures prescribed by pharmaceutical companies⁶ differ from one another and are often not aligned with clinical practice. This increases the risk of errors and reduces job satisfaction. There is also variation in clinical practice itself between hospitals as there is no national standard.
- The required periodic trainings and audits overlap with each other and with other monitored hospital qualifications.
- The administrative burden is generally higher for ATMP treatments than for other therapies: contracting and the extensive registrations required per treatment demand substantial effort from professionals.

⁵ ZonMw is a Dutch government-funded independent self-governing organisation that programs and funds research and innovation in health and promotes knowledge infrastructures and use of knowledge developed.

⁶ The marketing authorisation holder, MAH.

Current capacity at UMCs appears insufficient to accommodate a significant increase in ex vivo, cell-based gene therapies⁷:

- These therapies (currently mostly CAR T treatments⁸) already require significant input from scarce personnel and limited facilities.
- The number of CAR T treatments is expected to increase in the coming years, driven by greater use of CAR T products with marketing authorisation as well as new indications and products. Earlier use of CAR T may prevent alternative treatments, but the net effect of this earlier deployment is still unclear.

Solutions

Alleviating the identified bottlenecks requires action across multiple tracks:

- In the short term, individual hospitals, with support from pharmaceutical companies, can achieve some reduction in the burden of training, audits and administrative requirements.
- Collaboration between UMCs (including through UMCNL) and industry is needed to mitigate bottlenecks more structurally in the medium term. Joint efforts could reduce duplication in training and audits, harmonise working procedures, and develop model contracts.
- The European Medicines Agency (EMA⁹) could contribute to the longer-term relief of bottlenecks arising from the current regulatory framework. EMA could facilitate harmonisation of ATMP-related procedures and improve alignment of ATMP dossiers with clinical practice.

In addition to alleviating bottlenecks, SiRM believes that hospital capacity for ATMP care can be deployed more strategically as demand increases:

- VWS and the National Health Care Institute (*Zorginstituut Nederland*) could provide hospitals with greater insight into future capacity needs by maintaining up-to-date projections of expected patient numbers and associated shifts in care.
- UMCs can enhance the future robustness of their ATMP care organisation, for example by centralising CAR T-related processes.
- UMCs can make agreements amongst themselves and with general hospitals to optimise the use of capacity for ATMP care:
 - UMCs can reduce pressure on individual centres by centralising care for rare indications.
 - Non-academic (peripheral) hospitals can relieve pressure on UMCs by taking over (parts of) the care pathway.

The table in *Bijlage 1* (Appendix 1) provides a more detailed overview of the recommendations per stakeholder in Dutch (UMCs and general hospitals, pharmaceutical companies, VWS, EMA, consortia such as DARE-NL and ATMP-NL, professional associations, and ZonMw).

⁷ When asked about capacity bottlenecks, participants of the exploratory study mostly mentioned bottlenecks in using ex vivo, cell-based gene therapies (abbreviated as ex vivo cell therapies).

⁸ Chimeric antigen receptor T-cells.

⁹ Potentially supported by changes in regulation and law by the European Commission (EC).

Inhoud

Colofon	1
Managementsamenvatting	2
Executive summary	4
1 Aanleiding en conclusie	8
1.1 Aanleiding	8
1.2 Vraag aan SiRM en aanpak	8
1.3 Conclusies en aanbevelingen	9
2 Professionals ervaren toepassing ATMP's als (onnodig) belastend	10
2.1 De door de firma voorgeschreven werkwijzen verschillen onderling en sluiten niet altijd aan bij de zorgpraktijk	10
2.2 De periodieke trainingen en audits per ATMP overlappen onderling en met andere kwalificaties van het ziekenhuis	12
2.3 Bij behandeling met ATMP's zijn de administratieve lasten hoger dan bij andere behandelingen	13
3 Capaciteit voor ex vivo celtherapie lijkt bij toename niet toereikend	15
3.1 Ex vivo celtherapieën (nu met name CAR T's) vragen veel inzet van schaars personeel en schaarse faciliteiten	15
3.2 Het aantal behandelingen met een ex vivo celtherapie zal de komende jaren naar verwachting toenemen	17
4 Verlichten van knelpunten vergt inzet op meerdere sporen	20
4.1 Individuele ziekenhuizen kunnen met firma's op korte termijn last van training, audits en administratie iets verminderen	20
4.2 UMC's/UMCNL kan met de industrie samenwerken om op middellange termijn belasting terug te dringen	21
4.3 EMA kan op langere termijn mogelijk verlichting bieden door knelpunten die volgen uit huidige regelgeving te adresseren	23
5 Slimmere inzet van capaciteit biedt perspectief bij vraagtoename	25
5.1 VWS en het Zorginstituut kunnen ziekenhuizen (enig) zicht bieden op de toekomstige capaciteitsvraag	25
5.2 UMC's kunnen intern de organisatie van hun ATMP-zorg toekomstbestendiger maken	26

5.3 UMC's kunnen onderling en met algemene ziekenhuizen afspraken maken over inzet van capaciteit voor ATMP-zorg	26
Bijlage 1 Overzicht aanbevelingen	28
Bijlage 2 Begrippenlijst	30
Bijlage 3 Achtergrondinformatie	32
Bijlage 4 Aanpak verkenning	35

I Aanleiding en conclusie

1.1 Aanleiding

Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP's) zijn geneesmiddelen voor geavanceerde therapie, zoals cel- en gentherapie en weefseltherapie. Ze hebben een enorme potentie, omdat ze (op maat gemaakte) behandelingen kunnen bieden voor veel patiënten, ook voor aandoeningen die momenteel moeilijk of niet te behandelen zijn. Ze kunnen op korte termijn mensenlevens redden en op lange termijn de zorg structureel transformeren. Voor het aanbieden van ATMP-zorg is specifieke infrastructuur in de zorgpraktijk nodig:

- Mensen: professionals met juiste expertise en ervaring met ATMP-zorg.
- Processen: onder andere celafname bij de patiënt (afhankelijk van de ATMP), bewerking van het afereseproduct voorafgaand aan transport en opslag, voor toediening gereedmaken van de ATMP in het ziekenhuis (VTGM) en toediening van de ATMP aan de patiënt.
- Faciliteiten: de juiste apparatuur voor bijvoorbeeld het opslaan en voor het transporteren van celproducten.

Op dit moment passen ziekenhuizen een beperkt aantal geregistreerde en in Nederland tot het basispakket toegelaten¹⁰ ATMP's toe in de zorgpraktijk.

Uit eerdere verkenningen blijkt dat er knelpunten spelen bij de toepassing van ATMP's¹¹. Tegelijkertijd neemt naar verwachting het aantal geregistreerde ATMP's en het aantal patiënten die een ATMP-behandeling ontvangen in de komende jaren toe.

1.2 Vraag aan SiRM en aanpak

Het ministerie van Volksgezondheid Welzijn en Sport (VWS) en ZonMw vroegen SiRM te inventariseren tegen welke uitvoeringsproblemen de zorgpraktijk aanloopt bij de toepassing van het groeiend aantal beschikbare ATMP's.¹² Ze vroegen een verkenning uit te voeren naar huidige en toekomstige knelpunten, en mogelijke oplossingsrichtingen voor de infrastructuur van geregistreerde ATMP's in de zorgpraktijk. ZonMw verzocht SiRM hierbij te focussen op geregistreerde ATMP's. Zowel vergoeding van ATMP-zorg als productie van ATMP's zijn geen onderdeel van de verkenning.

Tijdens de verkenning voerde SiRM van augustus t/m december 2025 de volgende activiteiten uit:

- **Kwalitatief deskresearch.** We bestudeerden onder andere bekende literatuur over knelpunten bij de toepassing van ATMP's in de zorgpraktijk.

¹⁰ We noemen tot het basispakket toegelaten in dit rapport verkort toegelaten.

¹¹ Onder andere: Gort J, Van Hattem CC, Bloem LT, Ten Ham RMT (2023), Geneesmiddelen voor Geavanceerde Therapie (ATMP's) in Nederland: Veldverkenning, Knelpuntanalyse en Activiteitenkaart. KWF (2021), Cel- en gentherapie naar de oncologische klinische praktijk. P. Meij, L.A. Veltrop, S.P. De Wilde (2016), Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) naar de reguliere klinische zorg.

¹² Bron: VWS (2023). Bijlage stand van zaken geavanceerde therapieën. ([link](#))

- **Circa 20 (groeps)interviews** om inzichten te verzamelen voor de verkenning. Om verschillende perspectieven mee te nemen, interviewden we zorgprofessionals van de verschillende universitair medische centra (UMC's), farmaceutische firma's (MAH's¹³, hierna 'firma's' genoemd), overheidspartijen en een patiëntenvereniging.
- **Drie praktijkbezoeken aan UMC's** om korte interviews te voeren met medewerkers die in hun dagelijkse praktijk werken met ATMP's en in eerdere verkenningen minder aan bod zijn gekomen. Denk hierbij aan kwaliteitsmedewerkers, verpleegkundigen, stamcellaboratoriummedewerkers en coördinatoren.
- **Verdiepings sessie** met deelnemers aan de interviews en praktijkbezoeken en andere experts en relevante stakeholders om mogelijke oplossingsrichtingen te concretiseren.

Gedurende de verkenning werd SiRM bijgestaan door een begeleidingscommissie waarin experts uit het veld deelnamen. VWS en ZonMw participeerden in deze begeleidingscommissie respectievelijk als toehoorders en als ondersteuning.

Bijlage 1 bevat een overzicht van de aanbevelingen per actor. In Bijlage 2 staat een begrippenlijst met daarin een toelichting op veelgebruikte begrippen en afkortingen. Bijlage 3 bevat achtergrondinformatie, met daarin bevindingen van de verkenning die niet in de hoofdconclusies zijn meegenomen in het rapport. Bijlage 4 bevat een meer uitgebreide toelichting op de aanpak van de verkenning.

1.3 Conclusies en aanbevelingen

Professionals ervaren de huidige toepassing van ATMP's als (onnodig) belastend doordat werkwijzen die firma's vereisen niet goed aansluiten op de zorgpraktijk, trainingen en audits overlappen en de administratieve lasten aanzienlijk hoger zijn dan bij andere behandelingen (Hoofdstuk 2). Naar de toekomst toe is de capaciteit in UMC's onvoldoende toegerust op de verwachte groei van vooral *ex vivo cell based* gentherapieën (afgekort *ex vivo celtherapieën*) zoals CAR T, die nu al veel schaarse personele en facilitaire capaciteit vragen. Door uitbreiding van indicaties en middelen zal het aantal *ex vivo celtherapie* behandelingen namelijk toenemen, terwijl het netto-effect op andere behandelingen nog onzeker is (Hoofdstuk 3).

Het aanpakken van de knelpunten in de huidige toepassing (van *ex vivo celtherapieën*) vraagt inzet op meerdere sporen: op korte termijn kunnen individuele UMC's met firma's knelpunten verlichten, op middellange termijn kan sectorbrede samenwerking tot verzachting van knelpunten leiden en op langere termijn kan EMA verlichting bieden door knelpunten die volgen uit de huidige regelgeving te adresseren¹⁴ (Hoofdstuk 4). Naast het verminderen van knelpunten kan de inzet van ATMP-capaciteit doelmatiger worden ingericht. VWS en het Zorginstituut kunnen meer inzicht bieden in de toekomstige zorgvraag, terwijl UMC's hun ATMP-zorg toekomstbestendiger kunnen organiseren en onderling en met algemene ziekenhuizen afspraken kunnen maken over slimmere capaciteitsinzet (Hoofdstuk 5).

¹³ MAH staat voor *marketing authorisation holder*. We gebruiken deze afkorting omdat de MAH in de context van de knelpunten degene is die bepaalde eisen stelt aan ziekenhuizen bij de toepassing van hun geneesmiddel. Een MAH hoeft niet per definitie een farmaceutische firma te zijn.

¹⁴ Mogelijk op onderdelen ondersteund door aanpassingen in wet- en regelgeving door de Europese Commissie (EC).

2 Professionals ervaren toepassing ATMP's als (onnodig) belastend

Professionals ervaren de huidige toepassing van ATMP's in de praktijk als (onnodig)¹⁵ belastend. Ten eerste sluiten de door de MAH voorgeschreven werkwijzen regelmatig niet aan bij de zorgpraktijk. Dit vergroot de kans op fouten en vermindert werkplezier. Overigens werkt de praktijk zelf ook niet hetzelfde, bij gebrek aan één Nederlandse standaard (§2.1). Ten tweede overlappen trainingen en audits onderling en met andere gemonitorde kwalificaties van het ziekenhuis (§2.2). Tot slot zijn de administratieve lasten bij behandeling met ATMP's hoger dan bij andere behandelingen: het sluiten van contracten met MAH's en de registraties per behandeling vragen veel inspanning van professionals (§2.3).

We zetten in dit hoofdstuk de knelpunten uiteen die ervoor zorgen dat professionals ergernis en soms frustratie ervaren bij het toepassen van ATMP's. Zij vragen zich regelmatig af of de voorgeschreven activiteiten en handelingen nodig zijn. De focus ligt bij deze knelpunten minder op de capaciteit die het van hen vraagt. Hier gaan we het volgende hoofdstuk verder op in.

2.1 De door de firma voorgeschreven werkwijzen verschillen onderling en sluiten niet altijd aan bij de zorgpraktijk

Farmaceutische firma's schrijven bij soortgelijke ATMP's vaak (net) verschillende werkwijzen voor.¹⁶ Bovendien hanteert het ziekenhuis regelmatig al een andere werkwijze. Denk bijvoorbeeld aan productspecifieke werkwijzen per firma¹⁷ voor:

- De aferese per *ex vivo cell-based* gentherapie (afgekort *ex vivo* celtherapie) met daarbij onder andere een voorschrift voor de materialen die zorgprofessionals moeten gebruiken.
- Het etiketteren van het afereseproduct per *ex vivo* celtherapie, met een voorschrift voor type etiket en soms zelfs type printer dat het ziekenhuis moet gebruiken.
- Het versturen van celmateriaal naar de firma bij *ex vivo* celtherapie, met bijvoorbeeld productspecifieke instructies hoe het product gereed te maken voor verzending, hoe snel dit moet gebeuren en in wat voor type *shipper*.
- Het ontvangen van het geneesmiddel.

¹⁵ We zetten hierbij onnodig tussen haakjes, omdat deelnemers aan de verkenning in wisselende mate de noodzaak van de uitgebreide inzet, bijvoorbeeld vanwege de kwetsbaarheid en relatieve onbekendheid van ATMP's, onderschreven.

¹⁶ Dit probleem signaleerden ziekenhuizen al eerder bij VWS, die aangaf hier actie op te willen ondernemen in 2023. Bron: VWS (2023). Bijlage stand van zaken geavanceerde therapieën. ([link](#))

¹⁷ Niet elke firma hanteert voor elk van de genoemde voorbeelden een eigen werkwijze. Zo geeft een firma aan dat ziekenhuizen in sommige gevallen (deels) eigen procedures mogen volgen voor bijvoorbeeld de *cell processing*, en ook eigen materialen mag gebruiken voor bijvoorbeeld aferese en etiketteren.

- De opslag van het geneesmiddel, met verschillen in ompakking van het geneesmiddel met daaruit andere vereisten voor de opslagapparatuur.
- Het voor toediening gereedmaken (VTGM) van het geneesmiddel.

De werkwijzen van dezelfde ATMP kunnen ook verschillen tussen uitvoer van klinisch onderzoek en gebruik na registratie. Een oorzaak hiervan kan zijn dat het bureau Genetisch Gemodificeerde Organismen (GGO) gedurende onderzoek andere eisen stelt dan de EMA als onderdeel van de post-autorisatie via de *(additional) risk minimisation measures (aRMM)*.¹⁸

Zorgprofessionals geven aan dat deze verschillen in werkwijzen de kans op fouten vergroot. Daarnaast geven zorgprofessionals aan het niet altijd duidelijk te vinden waarom de (kleine) verschillen in werkwijzen bestaan.¹⁹ Dit vermindert hun werkplezier. Tegelijk geven firma's aan dat bijvoorbeeld aferese een essentieel onderdeel is van het productieproces, en dat de voorgeschreven werkwijze volgen dus van belang is voor het eindproduct.

Volgens firma's is het lastig om aan te sluiten bij de Nederlandse zorgpraktijk. Ziekenhuizen merken ook dat de mate van flexibiliteit om aan te sluiten bij hun werkwijzen verschilt tussen de firma's.

- Er is niet één praktijk in Nederland: Nederlandse ziekenhuizen hebben vaak een eigen werkwijze, welke onderling verschillen.
- Firma's brengen hun ATMP's over de hele wereld in de handel, en de zorgpraktijk is buiten Nederland vaak weer anders. Firma's baseren de werkwijzen op wereldwijd klinisch onderzoek én wereldwijde toepassing. Daarnaast is het registratieproces in Europa centraal georganiseerd voor ATMP's, wat betekent dat één registratie in ieder geval moet volstaan voor alle landen in de EU.
- Het is voor firma's lastig om werkwijzen aan te passen na registratie. De productregistratie omvat namelijk onder andere in detail de productiestappen voor het vervaardigen van een geneesmiddel. Deze productiestappen beslaan ook stappen in het ziekenhuis, zoals de celafname.²⁰ Firma's kunnen geen wijzigingen doorvoeren in deze productiestappen, tenzij ze hiervoor een variatie aanvragen bij de EMA. Bij deze aanvraag moet de firma aantonen dat het product voor en na de wijziging gelijkwaardig is. Dit gaat in het geval van ATMP's vaak samen met het aanleveren van uitgebreide data uit onderzoek naar de *comparability* tussen de huidige en gewijzigde stappen in het productieproces.²¹

¹⁸ De vereisten tijdens onderzoek komen voort uit Nederlandse GGO-wetgeving. Biosafety officers stellen voorzorgmaatregelen op om risico's van producten in onderzoek te mitigeren. Na registratie is het product als veilig verklaard en vervallen (een deel van) deze maatregelen. Als onderdeel van post-registratie kan EMA wel andere maatregelen voorschrijven.

¹⁹ Ziekenhuizen geven aan dat duidelijkheid vanuit de MAH over de samenstelling van het startmateriaal dat zij aanleveren en van het uiteindelijke eindproduct kan helpen in het verklaren van verschillen in werkwijzen. Ook kan het mogelijk helpen in het harmoniseren van delen van protocollen. Het aanleveren van deze informatie is echter niet vereist vanuit de EMA, die voorschrijft dat de duiding dat het product binnen een bandbreedte zit voldoende is.

²⁰ Zo heeft de EMA in haar richtlijnen opgenomen dat alle stappen van het productieproces, inclusief de celafname, gevalideerd moeten zijn. Alle gevalideerde stappen wijzen op een consistente productie van het product. Bron: EMA (2006). The overarching guideline on human cell-based medicinal products (EMA/CHMP/410869/2006). ([link](#))

²¹ In het algemeen geeft EMA aan dat voor het aantonen van vergelijkbaarheid van het product na wijzigingen de principes van de ICH Q5E toepasbaar zijn. Deze principes geven aan dat bij niet vergelijkbare resultaten uit analyses naar bijvoorbeeld de biologische eigenschappen van het product, non-klinische of zelfs klinische data nodig kan zijn. Bronnen: EMA (2020). Guideline on quality, non-clinical and clinical aspects of medicinal products containing genetically modified.

2.2 De periodieke trainingen en audits per ATMP overlappen onderling en met andere kwalificaties van het ziekenhuis

Zowel de trainingen als audits die firma's per ATMP vereisen overlappen onderling en met andere kwalificaties in de zorgpraktijk.²² Firma's zetten beide in²³ om ziekenhuizen te kwalificeren voor de toediening van hun ATMP:

- Firma's vereisen trainingen²⁴ per ATMP en in sommige gevallen zelfs periodiek voor dezelfde ATMP. Zorgprofessionals geven aan dat deze trainingen onvoldoende aansluiten op bestaande kennis. De trainingen bevatten bijvoorbeeld herhaling van onderdelen die zorgprofessionals zien als basiskennis van hun vakgebied.
- Firma's voeren audit(s) uit bij ziekenhuizen die werken met hun ATMP's. De audits overlappen per ATMP op verschillende onderdelen met elkaar. Ze overlappen daarnaast ook met (onderdelen van) al gemonitorde erkenningen waar UMC's aan voldoen. Denk hierbij bijvoorbeeld aan de vereisten vanuit de beroepsrichtlijn voor bereiding in Nederlandse ziekenhuisapotheken voor de apotheek (de GMP-Z), GMP-richtlijnen voor geneesmiddelfabrikanten wanneer een ziekenhuis zelf ook ATMP's produceert, en vereisten vanuit de Wvkl voor de erkenning voor een weefselinstelling/orgaanbank door IGJ.

De vereisten van ex vivo celtherapieën, zoals CAR T's, rondom celafname, transport en ontvangst overlappen volgens ziekenhuizen grotendeels met normen vanuit de JACIE. JACIE²⁵ is het Europese kwaliteits- en accreditatiesysteem voor instellingen die hematopoëtische stamceltransplantaties uitvoeren. Een JACIE-accreditatie zou volgens ziekenhuizen dus ook volstaan ter vervanging van audits op dit onderdeel. Firma's geven daarentegen aan dat deze accreditatie onvoldoende (volledig) aansluit op alle onderdelen die zij controleren vanuit hun GMP vereisten en/of de aRMM. Zij vragen zich ook af of de meer recent gepubliceerde normen van JACIE voor immuuneffectorcellen²⁶ beter hierop aansluiten. Daarnaast werkt de EU aan nieuwe regulering voor *substances of human origin* (SoHO), welke mogelijk soelaas biedt wanneer de vereisten voor ziekenhuizen uit die regulering beter aansluiten bij de vereisten vanuit firma's.²⁷

cells. (EMA/CAT/GTWP/671639/2008 Rev. 1 – corr). ([link](#)), EMA (2019) Questions and answers. Comparability considerations for Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP). ([link](#))

²² Ook dit knelpunt signaleerden ziekenhuizen al eerder bij VWS. Bron: VWS (2023). Bijlage stand van zaken geavanceerde therapieën. ([link](#))

²³ Een firma geeft aan geen audits meer uit te voeren, en de periodieke kwaliteitscontroles te beperken tot veelal deskresearch.

²⁴ Deze training kan vereist zijn vanuit de in paragraaf 2.1 benoemde aRMMs. Een recente studie van Universiteit Utrecht wees aan uit dat *educational material* in alle gevallen dat er sprake was van opgelegde aRMMs bij een ATMP onderdeel was van deze maatregelen. Bron: Essink et al. (2025). Risk minimisation measures of advanced therapy medicinal products in the EU between 2009 and 2023: A cross-sectional study. ([link](#))

²⁵ JACIE staat voor *Joint Accreditation Committee-ISC& EBMT*, een non-profit instelling met als doel het proces van stamceltransplantatie te beoordelen en accrediten. In ieder geval elk ziekenhuis dat in Nederland stamceltransplantaties uitvoert (waaronder alle UMC's die nu ATMP's toedienen) heeft een JACIE-geaccrediteerde hematologie-afdeling.

²⁶ FACT-JACIE (2025). FACT-JACIE international standards for immune effector cells. Third edition. ([link](#))

²⁷ Regulation (EU) 2024/1938 of the European parliament and the council of 13 June 2024 on standards of quality and safety for substances of human origin intended for human application and repealing Directives 2002/98/EC and 2004/23/EC ([link](#))

2.3 Bij behandeling met ATMP's zijn de administratieve lasten hoger dan bij andere behandelingen

2.3.1 Met name behandelingen met ex vivo celtherapieën kennen relatief veel (door de firma) vereiste registraties

Firma's vereisen bij met name ex vivo celtherapieën relatief veel registraties per behandeling. Zij vragen ziekenhuizen (verschillende) gegevens in te vullen bij bijvoorbeeld:

- het verkrijgen van het celmateriaal
- het versturen van het celmateriaal
- het ontvangen en opslaan van het geneesmiddel
- het voor toediening gereedmaken van het geneesmiddel
- het toedienen van het geneesmiddel

Firma's geven aan dat deze uitvoerige administratie (deels) voortkomt vanuit de geneesmiddelstatus van het materiaal en daarbij behorende fabrikantsvereisten van *Good Manufacturing Practice* (GMP) en ook de *Good Distribution Practice*²⁸ (GDP). De veelheid aan registraties en ervaren intensiteit hiervan per behandeling is onder andere het gevolg van:

- De eisen die firma's stellen vanuit het controleren van de productiestap die plaatsvindt in ziekenhuizen: de afname van het celmateriaal, één van de startmaterialen van het geneesmiddel.
- De eisen voor rapportage van moment van ophalen en leveren van producten, om onder andere te bepalen wie verantwoordelijk is voor bijvoorbeeld temperatuur van het product.
- De *chain of identity* en *chain of control* die voor ex vivo, autologe ATMP's bijgehouden moeten worden.
- De aRMMs die EMA bij veel ATMP's oplegt.
- De dubbele controle die bij deze registraties vaak een vereiste is.²⁹

Ook het bestellen van het geneesmiddel door een apotheker vergt de nodige administratie en verloopt via firma-specifieke ICT-portals.

Ten slotte ervaren zorgprofessionals administratieve lasten bij het bijhouden van uitkomst- en kwaliteitsregistraties, die overigens niet vereist zijn vanuit de firma. Zo administreren ze de uitkomsten momenteel in verschillende systemen, zoals voor het ziekenhuis zelf, in de EBMT-database en/of in een database opgezet door de beroepsgroep voor onderzoek (*Follow that CAR*). De beroepsgroep geeft aan te werken aan het (meer) integreren van deze registraties.

²⁸ Om farmaceutische producten te mogen verhandelen moet voldaan worden aan GMP en GDP-richtsnoeren, gebaseerd op een Europese norm die eisen stelt aan de productie en logistiek van geneesmiddelen. Bronnen: Richtsnoeren 2013/C 343/01 ([link](#)) en Commission Directive (EU) 2017/1572 ([link](#))

²⁹ Dit uit zich bij het ontbreken van geautomatiseerde systemen voor deze controle in de zorgpraktijk vaak in een zogeheten vierogenprincipe. Dit is overigens een breder algemeen principe in de zorgpraktijk bij bijvoorbeeld dataverwerking in het laboratorium en medicatieverstrekking aan het bed.

2.3.2 Het sluiten van contracten met firma's vergt veel inspanning van het ziekenhuis

De contracten die ziekenhuizen met firma's sluiten over de voorwaarden waaronder het ziekenhuis patiënten behandelt met ATMP's, vragen veel inspanning van ziekenhuizen.

Ziekenhuizen geven aan dat deze contracten doorgaans uitgebreide onderdelen bevatten over:

- De benodigde (kwaliteits-)registraties, onder andere de benodigde registraties ter bewaking van de *chain of control* van het product.
- De logistieke afspraken rondom een behandeling, met bijvoorbeeld details over het reserveren van slots voor productie, verzending van celmateriaal en de ontvangst van het geneesmiddel. Omdat een product patiëntspecifiek is, dragen deze afspraken onder andere bij aan het bewaken van de *chain of identity* van het geneesmiddel.
- De (verplichte) trainingen en ondersteuning vanuit het ziekenhuis bij de behandeling kunnen ook onderdeel zijn van dergelijk contract.

Ziekenhuizen geven aan dat deze contracten firma-specifiek zijn, met vaak net andere afspraken. In sommige gevallen willen firma's zowel afspraken over studies als geregistreerde producten vatten in één contract. Dit maakt het proces van het sluiten van deze contracten vaak complexer en langduriger dan bij andere behandelingen.

3 Capaciteit voor ex vivo celtherapie lijkt bij toename niet toereikend

De huidige capaciteit bij UMC's lijkt voor een toename in ex vivo celtherapie niet toereikend. Deze therapieën (in de huidige praktijk met name CAR T's) vragen nu al veel inzet van schaars personeel en schaarse faciliteiten (§3.1). Bovendien is de verwachting dat het aantal behandelingen met een CAR T de komende jaren toeneemt, zowel door meer toepassing van al geregistreerde CAR T's als door nieuwe indicaties en middelen. Deze (vroegere) inzet van CAR T's zal op haar beurt weer andere behandelingen voorkomen, maar het netto-effect van deze (vroegere) inzet is nog onduidelijk (§3.2).

Gevraagd naar knelpunten rondom capaciteit noemden deelnemers aan de verkenning vooral knelpunten bij de toepassing van ex vivo celtherapieën. Dit hoofdstuk beschrijft deze knelpunten. De ervaringen met in vivo gentherapieën die wij alsnog verzamelden tijdens de verkenning staan in Bijlage 3.

3.1 Ex vivo celtherapieën (nu met name CAR T's) vragen veel inzet van schaars personeel en schaarse faciliteiten

3.1.1 Ex vivo celtherapieën leggen per behandeling relatief veel beslag op schaars personeel van verschillende afdelingen

Ex vivo celtherapieën (in de huidige praktijk met name CAR T's³⁰) vragen in het ziekenhuis veel inzet van verschillende zorgprofessionals en afdelingen. Dit is een complexer proces dan veel andere behandelingen, onder andere omdat het geneesmiddel patiëntmateriaal bevat. Het productieproces start met celafname bij de patiënt in het ziekenhuis, het uiteindelijke geneesmiddel is patiënt-specifiek, en de bijwerkingen verschillen tussen patiënten.

Figuur 1 laat dit proces schematisch zien met de voornaamste stappen sequentieel weergegeven. In het daadwerkelijke proces kunnen sommige stappen parallel plaatsvinden. Bovendien verschilt het proces per CAR T, en is het in de praktijk nog complexer dan in onderstaande weergave.

³⁰ Enkele andere ATMP's gebruiken als startmateriaal cellen van de patiënt, bijvoorbeeld Libmeldy. Daarnaast spraken we met enkele deelnemers over de toepassing van Spherex, een weefseltherapie ex vivo vervaardigd uit autologe chondrocyten.



Figuur 1. Een behandeling met een CAR T kent vele stappen waarbij zowel verschillende afdelingen als type zorgverleners betrokken zijn.

Dit is niet nieuw: ook stamceltransplantaties zijn patiënt-specifieke behandelingen waarbij celafname plaatsvindt³¹. Deelnemers aan de verkenning geven echter aan dat bijvoorbeeld CAR T's³² extra druk op het schaarse personeel leggen:

- Verzenden van het celmateriaal (1) en ontvangen en opslaan van het uiteindelijke celtherapieproduct (2) vereisen aanwezigheid van verschillende professionals van bijvoorbeeld het stamcellaboratorium en de apotheek³³. Dit schaarse personeel moet ervaring hebben met het werken met bijvoorbeeld CAR T's en de benodigde kwalificaties hebben (bijvoorbeeld die van verantwoordelijk persoon (VP)).
- Celafname (1), toedienen (4) en nazorg (5) vraagt een centrale rol van de afdeling hematologie, omdat zij zowel bij de aferese een rol spelen als bij de toediening. Deze afdeling is JACIE geaccrediteerd in de ziekenhuizen die CAR T's toedienen. Voor het werken met CAR T's moeten o.a. verpleegkundigen opgeleid en ervaren zijn, om zo ook voldoende bekend te zijn met bijvoorbeeld aferese en/of bijwerkingen, zoals neurotoxiciteit of het cytokine release syndroom (CRS) die kunnen optreden na een behandeling met een CAR T.

Hoewel het veelal gaat om zorgprofessionals die nu al schaars zijn, o.a. verpleegkundigen, apothekers en laboranten, geven deelnemers aan de verkenning aan dat het aanbod in hun ziekenhuis nu nog niet door capaciteit beperkt wordt. Bij forse toename van behandelingen met een ex vivo celtherapie is het echter onwaarschijnlijk dat ziekenhuizen met hun huidige capaciteit in de vraag kunnen voorzien.

In vivo gentherapieën vragen volgens deelnemers aan de verkenning overigens een minder grote inzet per behandeling. De stappen voortkomend uit het gebruik van patiëntmateriaal zijn immers niet nodig. De nazorg is wel vergelijkbaar met ex vivo celtherapieën, met onder andere langdurige monitoring en dus meer inzet dan reguliere behandelingen.

³¹ Stamceltransplantaties leggen ook een groot beslag op de zorgpraktijk, met o.a. langdurige aferese. Wel is hier in de huidige praktijk minder nazorg georganiseerd in een UMC dan bij CAR T therapie, omdat zij deze nazorg bijvoorbeeld uitbesteden aan een perifeer centrum. Autologe stamceltherapieën zijn al verder in ontwikkelfase dan CAR T-processen, die nog minder geoptimaliseerd zijn.

³² Ook behandelingen met andere ex vivo vervaardigde therapieën leggen beslag op schaars personeel. Het terugplaatsen van kraakbeen bij een behandeling met bijvoorbeeld Spherex gebeurt na ontvangst in de OK. Dit vraagt om beschikbaarheid van de OK kort na moment van levering, en daaromheen strakke coördinatie van de verschillende betrokken zorgprofessionals, de apotheek en de OK-planning.

³³ Een enkele deelnemer benoemt ook de belasting van apothekers met het bestellen van het ATMP-product in de MAH-specifieke ICT-portals.

3.1.2 Ex vivo celtherapie legt beslag op schaarse faciliteiten in het ziekenhuis

Naast inzet van schaars personeel legt ex vivo celtherapie ook beslag op faciliteiten in het ziekenhuis waar andere zorg, klinisch onderzoek en eventuele academische productie van ATMP's ook beslag op leggen. Zo zijn de aferesefaciliteiten noodzakelijk voor stamceltransplantaties en voor het verkrijgen van startmateriaal voor academische productie van ex vivo celtherapieën. Deze eigen productie is mogelijk voor toepassing in klinisch onderzoek en onder *Hospital Exemption (HE)*³⁴, al dan niet gericht op uiteindelijke markttoelating.³⁵ De infrastructuur vanuit het stamcellaboratorium en/of de apotheek is voor zowel eigen productie als de toepassing van geregistreerde producten van belang, terwijl deze nu al capaciteitslimieten kent.

Deelnemers aan de verkenning vanuit de zorgpraktijk geven aan dat er nog nauwelijks competitie om deze faciliteiten ontstaat tussen klinisch onderzoek, HE en behandelingen met geregistreerde producten. Ze voorzien dat dit wel kan ontstaan in de toekomst, bij een toename in zowel het aantal behandelingen met geregistreerde producten, als het aantal behandelingen onder *Hospital Exemption* én het aantal onderzoeken waaraan zij als ziekenhuis deelnemen.

3.2 Het aantal behandelingen met een ex vivo celtherapie zal de komende jaren naar verwachting toenemen

Omdat de tijdens de verkenning genoemde capaciteitsknelpunten vooral over de toepassing van ex vivo celtherapieën gaan (in de huidige praktijk vaak de CAR T's), gaat deze paragraaf ook in op de toename die we hierin verwachten. De inzichten die we tijdens de verkenning opdeden over de mogelijke groei in de toepassing van in vivo gentherapieën staan in Bijlage 3.

We beschrijven de verwachte ontwikkeling op de middellange termijn, omdat er nog veel onduidelijkheid bestaat over de langere termijn (10+ jaar).

3.2.1 Zowel de toepassing van geregistreerde ex vivo celtherapieën als het aantal nieuwe indicaties en middelen zal de komende jaren blijven groeien

In de mondiale pijplijn bevinden zich veel indicatie-uitbreidingen (waaronder verschuivingen in behandelbaarheidsgebied) en nieuwe ex vivo celtherapieën, die bij bereiken van de markt het aantal behandelingen en daarmee de druk op de zorg fors kunnen vergroten.³⁶ COGEM schatte het aantal verwachte gentherapieproducten tot aan 2032 op maximaal 80. Meer dan de helft van de trials waar COGEM deze inschatting op baseerde betrof een ex vivo celtherapie, waarvan meer dan de helft een CAR T.³⁷ Welke nieuwe indicaties en middelen de markt uiteindelijk bereiken is

³⁴ De Hospital Exemption procedure maakt het mogelijk een ATMP toe te passen bij een patiënt zonder markttoelatingsprocedure.

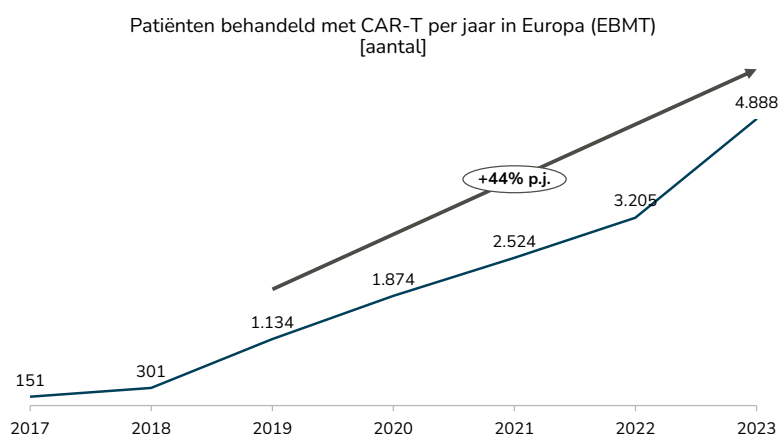
³⁵ Academische centra produceren zelf ook ATMP's, voor bijvoorbeeld studiedoelinden of voor toediening onder *hospital exemption*. In enkele gevallen is de academie gericht op productie van een (uiteindelijk) geregistreerd geneesmiddel: de TIL therapie van het NKI en de CAR T van het UMCG. Deelnemers aan de verkenning zijn verdeeld over academische productie en het capaciteitsbeslag hiervan op de zorgpraktijk. In eerder onderzoek omschreven we welke toegevoegde waarde academie-gedreven geneesmiddelontwikkeling kan hebben (zie SiRM, Academie-gedreven geneesmiddelenontwikkeling, oktober 2024 ([link](#))).

³⁶ We zien ook een groot aantal in vivo therapieën, waarvan we de ontwikkeling op hoofdlijnen omschrijven in Bijlage 2.

³⁷ Bron: COGEM (2024). De waarde van gentherapie.

echter nog onzeker, wat het complex maakt om een concrete inschatting te maken van de groei van het aantal behandelingen met ex vivo celtherapieën.

Wanneer we specifiek kijken naar de ontwikkeling in CAR T's zien we naast de verwachte ontwikkeling in het aantal nieuwe indicaties en middelen ook een ontwikkeling in de grootte van de diagnosegroepen die firma's onderzoeken. Bijvoorbeeld de inzet van CAR T's bij solide tumoren en auto-immuunziekten. Ook het aantal patiënten bij geregistreerde indicaties kan verder toenemen, door bijvoorbeeld het inzetten van CAR T's als standaardbehandeling. In Europa groeide de inzet van CAR T's in de afgelopen jaren al sterk (Figuur 2).



Figuur 2. Het aantal behandelingen met een CAR T groeide 44% per jaar sinds 2019. Bron: EBMT

Of de Europese groei in CAR T behandelingen de druk op de Nederlandse zorgpraktijk op korte termijn zal verhogen, valt volgens meerdere deelnemers aan de verkenning nog te bezien.

- In Nederland wachten nog verschillende nieuwe indicaties en nieuwe CAR T's op beoordeling en/of financiële afspraken in de zogeheten sluis (Tabel 1).
- Bij de toegelaten indicaties voor CAR T's is er sprake van een nauwkeurige patiëntselectie: voorafgaand aan een CAR T behandeling voor bijv. DLBCL, PMBCL of tFL³⁸ bespreken hematologen uit verschillende academische centra gezamenlijk in een tumor board a.h.v. uitgebreide in- en exclusiecriteria of de patiënt in aanmerking komt voor de behandeling.

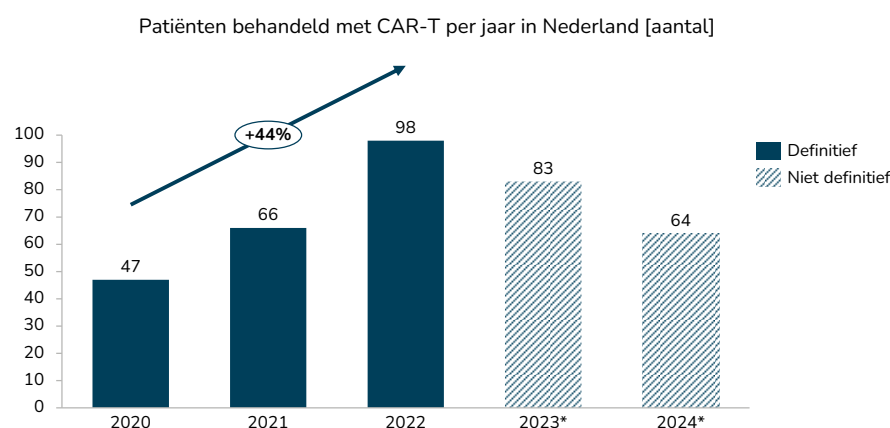
Tabel 1. In Nederland zijn verschillende ex vivo celtherapieën middels (aangekondigde) sluisplaatsing momenteel nog uitgesloten van het basispakket. 1. ZIN publiceerde een negatief advies voor toepassing van Tecartus bij bloedkanker. 2. Onlangs publiceerde VWS de sluisplaatsing van Carvykti niet te verlengen en het middel niet toe te laten tot het basispakket, vanwege het niet bereiken van een maatschappelijk aanvaardbare prijs in de onderhandelingen. Bronnen: Zorginstituut (2025). Overzicht geneesmiddelen in de sluis. VWS (2025). Aankondigingsbrief sluisplaatsing eerste helft 2026. Zorginstituut (2025). Horizonscan geneesmiddelen juni. VWS (2025). Kamerbrief prijsonderhandeling Xenpozyme, Carvykti en Enhertu.

Geneesmiddel	Indicatie	Omvang patiëntenpopulatie
Axicabtagene ciloleucel (Yescarta)	Bloedkanker	17 per jaar
Brexucabtagene autoleucel (Tecartus ¹)	Acute lymfoblastenleukemie leukemie (ALL)	< 41 per jaar

³⁸ DLBCL: diffuus grootcellig B-cel lymfoom, PMBCL: primair mediastinaal B-cel lymfoom en tFL: getransformeerd folliculair lymfoom. Zie voor de in- en exclusiecriteria [link](#).

Geneesmiddel	Indicatie	Omvang patiëntenpopulatie
Idecabtagene vicleucel (Abecma)	Ziekte van Kahler (multipel myeloom)	< 50 per jaar
Ciltacabtagene autoleucel (Carvykti ²)	Multipel Myeloom	< 458 per jaar
Etuvetidigene autotemcel (Waskyra)	Severe Wiskott-Aldrich Syndroom	
Zamtocabtagene autoleucel	Diffuus grootcellig B-cellymfoom (lymfeklierkanker)	< 203 per jaar

Het aantal behandelingen met de CAR T's Kymriah en Yescarta steeg van 2020-2022 wel even snel als in Europa (Figuur 3). Of het aantal behandelingen in 2023 en 2024 daadwerkelijk is afgenomen zoals op basis van de voorlopige data uit de GIPdatabank lijkt, is onduidelijk vanwege de vertraging van de data in de GIPdatabank. Ook is de meer recent tot het basispakket toegelaten CAR T Breyanzi niet opgenomen in onderstaande figuur vanwege de vertraging in de data beschikbaar via de GIPdatabank.



Figuur 3. Het aantal behandelingen met een CAR T groeide in Nederland tussen 2020 en 2022 44% per jaar. Bron: GIPdatabank

3.2.2 De toepassing van ex vivo celtherapieën kan ook inzet van andere behandelingen voorkomen, al is het netto-effect hiervan nog onduidelijk

Bij genezing na (eenmalige) inzet met een ex vivo celtherapie kan deze verdere klinische inzet voorkomen. In de huidige Nederlandse praktijk is dit nog minder aan de orde omdat bijvoorbeeld CAR T's vooral als laatstelijns behandeling voor oncologische indicaties worden ingezet.

- Het verschuiven naar eerdere lijnen van behandeling kan mogelijk inzet van andere oncologische behandelingen voorkomen. Hoeveel is afhankelijk van de indicatie(s) waarvoor eerdere lijnen van behandeling in de toekomst worden goedgekeurd.
- Bij niet-oncologische indicaties kan inzet van ex vivo celtherapieën mogelijk terugkerende klinische behandelingen voorkomen, bijvoorbeeld bij auto-immuunziektes en bloedziektes. Een voorbeeld hiervan is de toepassing van Casgevy bij β -thalassemie.³⁹ Ook hiervan is nog onduidelijk wat het effect is, omdat het afhankelijk is van de indicaties die de markt bereiken.

³⁹ Casgevy, exgamglogene autotemcel, is een therapie waarbij cellen zijn bewerkt met behulp van CRISPR/Cas9 en is door EMA goedgekeurd voor de behandeling van bloedziektes zoals β -thalassemie en sikkelcelziekte. ([link](#))

4 Verlichten van knelpunten vergt inzet op meerdere sporen

Het verlichten van de knelpunten uit Hoofdstuk 2 vergt inzet op meerdere sporen. Op korte termijn kunnen individuele ziekenhuizen met hulp van firma's de last van trainingen, audits en administratie iets verminderen (§4.1). Op middellange termijn is samenwerking tussen de UMC's/UMCNL en de industrie nodig om: dubbelingen in trainingen en audits terug te dringen, werkwijzen te harmoniseren en modelcontracten op te stellen (§4.2). Op langere termijn kan EMA mogelijk verlichting bieden door knelpunten die volgen uit de huidige regelgeving te adresseren (§4.3).

In dit hoofdstuk beschrijven we de belangrijkste en meest genoemde oplossingen die ziekenhuizen en firma's kunnen inzetten om knelpunten bij de toediening van ATMP's in de zorg te verminderen.⁴⁰ We gaan niet in op algemene oplossingen voor tekorten aan zorgprofessionals, zoals het werven van studenten voor ATMP-zorg relevante opleidingen tot bijvoorbeeld verpleegkundige, apotheker of ATMP-analist. In Bijlage 1 staat een overzicht van de aanbevelingen per actor.

4.1 Individuele ziekenhuizen kunnen met firma's op korte termijn last van training, audits en administratie iets verminderen

Uit de verkenning blijkt dat sommige ziekenhuizen al manieren hebben gevonden om knelpunten rond training, audits en administratie te verlichten, vaak in overleg met een individuele firma. Voor andere ziekenhuizen zijn deze oplossingen (mogelijk) nog niet bekend. We raden ziekenhuizen aan om deze oplossingen voor het verminderen van belasting vanuit ATMP-zorg met elkaar te delen.

Een aantal voorbeelden zijn:

- **Beheerste trainingslast:** Zet zoveel mogelijk in op train-de-trainer⁴¹ en tijdsafhankelijke e-learning, om ongewenste (gelijktijdige) druk op de zorgprofessionals te voorkomen.
- **Gelijktijdige audits:** Plan audits voor verschillende firma's op dezelfde dag, zodat de tijd van betrokken professionals zo efficiënt mogelijk besteed wordt. Bijkomend voordeel is dat onderlinge verschillen tussen audits hierdoor voor firma's zichtbaar worden.

⁴⁰ We werken smallere/hele specifieke oplossingen niet uit in dit hoofdstuk omdat we verwachten dat de impact ervan kleiner zal zijn. Denk bijvoorbeeld aan het ontwikkelen van een gezamenlijke ICT-applicatie van MAH's en professionals die koppelt naar alle portals en registraties harmoniseert.

⁴¹ Verschillende firma's hanteren dit principe al bij de trainingen die zij organiseren ter kwalificatie van zorgpersoneel voor het werken met hun ATMP.

- **Gestandaardiseerde checklist:** Stem de administratie voor verschillende ATMP's beter op elkaar af, bijvoorbeeld met één gestandaardiseerde checklist bij de apotheek die voor ontvangst voor meerdere producten geldt. De betreffende ziekenhuisapotheek ontwikkelde de overkoepelende vragenlijst op eigen initiatief en stemde deze daarna af met de betrokken firma's.

Een landelijke “implementatietafel” met professionals vanuit de verschillende ziekenhuizen zou kunnen helpen om oplossingen te delen. Bestaande consortia, zoals DARE-NL, ATMP-NL en HOVON kunnen hier een rol in spelen.

4.2 UMC's/UMCNL kan met de industrie samenwerken om op middellange termijn belasting terug te dringen

Naast oplossingsrichtingen die individuele ziekenhuizen en firma's zelf meteen op kunnen pakken, raden we de industrie en UMC's/UMCNL aan om samen te werken aan het structureler oplossen van knelpunten. Het liefst in Europees verband. Dit vergroot de kans op succes omdat firma's wereldwijd opereren en daarmee meer belang hebben bij internationale afspraken.

VWS kan met UMCNL in gesprek gaan over hoe UMC's/UMCNL onderstaande oplossingsrichtingen op kan pakken en hoe het ministerie hier eventueel bij kan ondersteunen. Mogelijk passen de oplossingsrichtingen binnen bestaande projecten van UMCNL zoals 'Onderzoeksinfrastructuren'.⁴²

4.2.1 Firma's kunnen in overleg met UMC's/UMCNL dubbelingen in training en audits terugdringen

Uit de verkenning blijkt dat de periodieke trainingen en audits per ATMP onderling overlappen en ook met andere kwalificaties in de zorgpraktijk (§2.2). Firma's kunnen gezamenlijk, in overleg met UMC's/UMCNL, deze dubbelingen in training en audits terugdringen:

- **Audits enkel indien aanvullend op bestaande erkenningen:** Voer alleen audits uit op aanvullende eisen aan ziekenhuizen welke nog geen onderdeel zijn van andere erkenningen. Deelnemers aan de verkenning vanuit de ziekenhuizen geven aan dat firma's daarbij kritisch kunnen kijken naar de daadwerkelijk benodigde auditing, omdat zij het idee hebben dat firma's op dit moment meer, en bredere, audits uitvoeren dan volgens hen noodzakelijk. Specifiek benoemen deelnemers de volgende voorbeelden van erkenningen die benodigde ervaring met (onderdelen van) ATMP-zorg laten zien:
 - JACIE als startpunt voor accreditatie voor ex vivo celtherapieën zoals CAR T's, met enkel aanvullende audits uit op aanvullende vereisten vanuit marktregistratie.⁴³
 - Wvkl-erkenning als maatstaf voor eisen waar het ziekenhuis aan voldoet rondom het in ontvangst nemen, bewaren, bewerken en distribueren van weefsel.

⁴² Een project waarin UMC's gezamenlijk hun onderzoeksinfrastructuren versterken ([link](#))

⁴³ Zorgprofessionals pleiten al langer voor acceptatie van JACIE bij specifiek CAR T therapieën. Zie bijvoorbeeld: Van Dorp en Van Sinderen (2024). Harmonisatie kwaliteitsnormen JACIE en CAR T accreditatie: “Vertrouw op elkaars expertise” ([link](#))

- Eventueel een GMP-fabrikantenvergunning als bewijs van bekendheid en voldoen aan GMP-vereisten, waar het ziekenhuis al aan voldoet wanneer het ook zelf ATMP's produceert.
- **Gestandaardiseerde training en certificering van professionals:** Stel een landelijk of Europees gestandaardiseerd trainingscurriculum, waarmee individuele zorgprofessionals zich certificeren. Een voorbeeld hiervan is *The GoCART Passport Initiative for Healthcare Professionals*⁴⁴. Daarnaast maakt een gestandaardiseerd curriculum en certificering het makkelijker voor professionals om in meerdere ziekenhuizen betrokken te zijn bij ATMP's.
- **Gemeenschappelijke auditor en/of trainer:** Overweeg het aanstellen van een gemeenschappelijke auditor en trainingsinstelling die overlappende vereisten controleert namens meerdere firma's en overeenkomstige trainingen aanbiedt. Dit vermindert de training- en auditdruk op centra én verbetert de uniformiteit.

Deze verkenning had niet tot doel de (juridische) mogelijkheden voor firma's om bestaande erkenningen van ziekenhuizen te accepteren volledig in kaart te brengen. Hiervoor is aanvullend onderzoek nodig. Dit onderzoek kan ook duiden wie mogelijk uitspraak moet doen om de acceptatie van erkenningen zoals JACIE door firma's mogelijk te maken.

4.2.2 UMC's/UMCNL en industrie kunnen werkwijzen zoveel mogelijk harmoniseren

In §2.1 beschreven we dat firma's bij soortgelijke ATMP's vaak (net) verschillende werkwijzen voorschrijven. We adviseren ziekenhuizen en firma's daarom om gezamenlijk te werken aan (zoveel mogelijk) geharmoniseerde werkwijzen rondom ATMP's:

- UMC's kunnen, via een samenwerkingsverband zoals UMCNL en bijvoorbeeld ATMP-NL, de huidige werkwijzen per ATMP met elkaar vergelijken. Ze kunnen met de industrie bespreken of de gevonden verschillen noodzakelijk zijn.
- UMC's kunnen gezamenlijke Nederlandse standaarden voor werkwijzen ontwikkelen. Denk bijvoorbeeld aan werkwijzen voor verzending van celmateriaal en de ontvangst van de ATMP. Wetenschappelijke verenigingen kunnen deze standaarden vaststellen. Enkele geïnterviewde firma's geven aan dat zij dergelijke gestandaardiseerde werkwijzen dan mogelijk kunnen accepteren voor hun product. We adviseren de ziekenhuizen daarom bij de ontwikkeling op te trekken met firma's. De industrie kan zo ook al rekening houden met de standaarden bij de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen.

Werkgroepen vanuit HOVON werken al aan harmonisatie van protocollen die betrekking hebben op bepaalde onderdelen van CAR T behandelingen, zoals het identificeren van en omgaan met de bijwerkingen. Mogelijk kan hierop worden voortgebouwd.

4.2.3 UMC's/UMCNL en firma's kunnen een modelcontract opstellen voor het leveren van ATMP-zorg

UMC's en firma's kunnen werken aan een modelcontract voor ATMP-zorg, om de ervaren belasting hiervan gedurende de contracteerfase van het kwalificatieproces terug te dringen

⁴⁴ EBMT (n.d.) The EU CAR T Handbook "While JACIE ensures that an institution has the necessary processes, facilities, and team qualifications in place, it does not provide a portable certification for individual staff members. The GoCART passport fills this gap by certifying the training and competence of individual HCPs." ([link](#))

(§2.3.2). Dit modelcontract kan op hoofdlijnen de benodigde afspraken voor ATMP-zorg bevatten, bijvoorbeeld de verantwoordelijkheidsverdeling tussen de firma en het ziekenhuis. Na opstellen van een dergelijk modelcontract is het ook van belang om hiervoor bekendheid te genereren zodat het breed gebruikt kan worden.

4.3 EMA kan op langere termijn mogelijk verlichting bieden door knelpunten die volgen uit huidige regelgeving te adresseren

Aanpassingen in wet- en regelgeving zijn nodig om de knelpunten structureel op langere termijn te kunnen verlichten. Zo kan EMA mogelijk de vereisten voor firma's en ATMP-producten aanpassen om zorgprofessionals meer te ontlasten. Wanneer hiervoor onderzoek nodig is, kan zij hiervoor routes openstellen. Op onderdelen is voorafgaand aan aanpassingen vanuit EMA een formeel besluit nodig vanuit de Europese Commissie (EC) en/of een wetswijziging.⁴⁵

Deelnemers aan de verkenning geven daarbij aan dat Nederlandse UMC's en de industrie wel op Europees niveau urgentie moeten creëren (via CBG) om EMA te overtuigen dat adresseren van knelpunten nodig is. Uit de verkenning blijkt overigens ook dat de knelpunten niet alleen in Nederland ervaren worden.⁴⁶ Ook VWS kan een belangrijke rol spelen in het vragen van aandacht in Europa voor de benodigde veranderingen, net als HOVON en EBMT.

4.3.1 EMA kan harmonisatie van ATMP-werkwijzen faciliteren

EMA kan de harmonisatie van werkwijzen faciliteren door bijvoorbeeld ziekenhuizen en firma's via *worksharing*⁴⁷ gelijkwaardigheid van werkwijzen aan te laten tonen. Internationale koepelorganisaties, van bijvoorbeeld hematologie en van firma's, kunnen hierbij een rol spelen. Zij kunnen zich wenden tot bijvoorbeeld de *Quality Innovation Group* (QIG) van de EMA, die zich met dergelijke problematiek bezighoudt.

Een mogelijke Europese aanpak kan er als volgt uitzien:

- UMC's uit verschillende landen identificeren een aantal specifieke verschillen in werkwijzen die knelpunten vormen in de zorgpraktijk door de onderlinge variatie, en vragen hiervoor internationaal aandacht, bijvoorbeeld door een congres hierover te organiseren. Ze leggen op basis van de uitkomsten van een dergelijk congres een verzoek voor meer harmonisatie neer bij de firma's.
- Firma's vragen met de UMC's aan EMA een gezamenlijk wetenschappelijk advies voor de harmonisatie van de geïdentificeerde werkwijzen. Hierbij kunnen firma's en UMC's

⁴⁵ De bevoegdheden van de EMA zijn omschreven in *Regulation (EC) No. 726/2004* ([link](#)). Hier staat onder andere in omschreven dat verplichtingen verbonden aan de (markt)vergunningen van firma's een EC-besluit behoeven. Dit geldt ook voor de verplichtingen opgelegd in post-autorisatie. Daarnaast bestaat aanvullende regulering rondom ATMP's, omschreven in *Regulation (EC) No. 1394/2007* ([link](#)).

⁴⁶ Dat dit niet enkel een Nederlands probleem is blijkt bijvoorbeeld uit: "While the core workflow (patient selection, apheresis, shipment, conditioning, infusion, and follow-up) is broadly consistent, its implementation varies substantially by product." Bron: van Sinderen et al. (2025). The operational burden and fragmented implementation in CAR T-cell therapy: insights from a multinational survey by the goCART coalition and the JACIE quality managers committee.

⁴⁷ Met *worksharing* kunnen MAH's eenzelfde *variation* doorvoeren bij verschillende registraties o.b.v. één aanvraag met daarbij onderbouwing van deze *variation* (zie ook §2.1 met toelichting op deze *variations*). Bron: EMA (2025). EMEA-H-19984/03 Rev. 114. European Medicines Agency post-authorisation procedural advice for users of the centralised procedure. ([link](#))

bijvoorbeeld overleggen met de QIG of de *Committee for Advanced Therapies* (CAT) van de EMA.

- Firma's en UMC's starten gezamenlijk een project om één of een aantal geprioriteerde standaardwerkwijzen te bepalen. Daarbij kan de EMA firma's de mogelijkheid bieden om via *worksharing* aan te tonen dat bepaalde geharmoniseerde werkwijzen tot dezelfde resultaten leiden als de huidige werkwijzen van hun geregistreerde CAR T's.
- Firma's stellen in hun *worksharing* voor dat ze de geharmoniseerde werkwijze opnemen. Hier kan EMA mee akkoord gaan. EMA kan de gestandaardiseerde werkwijze daarnaast vaststellen als werkwijze waaraan firma's kunnen refereren in hun registraties. Dit maakt het bij nieuwe ontwikkelingen ook mogelijk hier (gemakkelijk) bij aan te sluiten.

Deze verkenning geeft onvoldoende inzicht in de precieze werkwijzen waar harmonisatie gewenst is. Hiervoor is vervolgonderzoek nodig. Ook kan onderzoek uitwijzen op welke onderdelen van deze werkwijzen harmonisatie kansrijk is.

4.3.2 EMA kan mogelijk aanpassingen in werkwijzen vergemakkelijken om aansluiting bij de praktijk te verbeteren

EMA kan mogelijk de vereisten voor het aanpassen van werkwijzen zoals deze zijn vastgelegd in de registratie van ATMP's verlichten, of de procedure versnellen om (kleine) wijzigingen sneller mogelijk te maken. Het vergemakkelijken van wijzigingen stelt firma's beter in staat de door hen voorgeschreven werkwijzen o.b.v. voortschrijdend inzicht te laten aansluiten bij de Nederlandse zorgpraktijk. Deelnemers aan de verkenning geven aan dat firma's hiermee mogelijk ook wijzigingen kunnen doorvoeren om de doorlooptijd van productie te verkorten.

Het was geen onderdeel van deze verkenning om te onderzoeken welke (kleine) wijzigingen al mogelijk zijn binnen huidige wet- en regelgeving⁴⁸ of welke pas na een aanpassing in wet- en regelgeving via de EMA/EC. Om hier inzicht in te geven is vervolgonderzoek nodig. Dit onderzoek kan daarnaast duidelijkheid geven welke wijzigingen in wet- en regelgeving de meeste prioriteit hebben.

⁴⁸ Bijvoorbeeld binnen de aangepaste Variation Regulation die op 1 januari 2025 is ingegaan. ([link](#))

5 Slimmere inzet van capaciteit biedt perspectief bij vraagtoename

Naast het verlichten van de knelpunten, denkt SiRM dat de inzet van capaciteit voor ATMP-zorg in de ziekenhuizen slimmer kan. Ten eerste, kunnen VWS en het Zorginstituut ziekenhuizen (enig) zicht bieden op de toekomstige capaciteitsvraag, door regelmatig een inschatting te maken van verwachte patiënten en bijbehorende verschuiving van zorg (§5.1). Daarbij kunnen UMC's de organisatie van hun ATMP-zorg toekomstbestendiger maken, bijvoorbeeld door het bundelen van CAR T-processen als behandelmodaliteiten (§5.2). UMC's kunnen ten slotte onderling en met algemene ziekenhuizen afspraken maken over slimmere inzet van capaciteit voor ATMP-zorg (§5.3).

In dit hoofdstuk beschrijven we oplossingsrichtingen voor capaciteitskrapte bij een (forse) toename in de vraag naar ATMP-zorg. We verwachten dat deze capaciteitskrapte op middellange termijn vooral optreedt bij ex vivo celtherapieën, vanwege de al ervaren capaciteitskrapte in de huidige zorgpraktijk en de verwachte groei in inzet van dit type therapie (zie Hoofdstuk 3). In Bijlage 1 staat een overzicht van de aanbevelingen per actor.

Naast slimmere inzet van capaciteit die we in dit hoofdstuk beschrijven, kan toename in capaciteit uiteraard ook bijdragen. We hebben in deze verkenning niet onderzocht in hoeverre hier al voldoende aandacht voor is voor alle relevante tekortberoepen (onder andere verpleegkundige, apothekers(assistenten), aferese- en stamcellabmedewerkers). VWS kan (laten) onderzoeken of er voor deze beroepen voldoende wordt ingezet op instroom en of de benodigde kennis en vaardigheden voor ATMP-zorg voldoende onderdeel zijn van het curriculum. Kijk daarbij naar opleidingen op alle niveaus.

5.1 VWS en het Zorginstituut kunnen ziekenhuizen (enig) zicht bieden op de toekomstige capaciteitsvraag

Om zich beter voor te kunnen bereiden op de toekomstige capaciteitsvraag helpt het als ziekenhuizen inzicht hebben in de verwachte aantallen patiënten per ATMP en de eventuele bijbehorende verschuiving van zorg daardoor. Ziekenhuizen geven aan nu niet het benodigde inzicht te hebben om zich op groei voor te bereiden. Belangrijk daarbij is dat de inzet van ATMP's ook andere zorg kan vervangen en/of voorkomen.

Er is een toekomstinschatting beschikbaar via de Horizonscan⁴⁹. Hier staan geneesmiddelen op inclusief verwachte registratiedatum, de verwachte indicatiegebieden en een inschatting van het

⁴⁹ Horizonscan Geneesmiddelen, Zorginstituut Nederland ([link](#))

verwachte aantal patiënten per jaar. Deze verwachte registratiedatum hoeft niet overeen te komen met de datum dat het middel in Nederland beschikbaar komt. Daarnaast bevat de Horizonscan (nog) geen concrete informatie over eventuele verschuivingen van zorg.

VWS kan het Zorginstituut vragen om de bestaande informatie uit de Horizonscan te verrijken met een inschatting van de verwachte capaciteitseffecten op basis van de pijplijn aan ATMP's en de (eventuele) behandelingen die de ATMP-behandeling vervangt en/of voorkomt. Daarbij is bijvoorbeeld ook het opschuiven van toediening van een ATMP naar een eerdere lijn relevant, omdat dit meer zorg kan besparen. Hierbij is het van belang deze inschatting, net als andere informatie in de Horizonscan, te vernieuwen bij het beschikbaar komen van nieuwe informatie. Mogelijk kan Zorginstituut een dergelijke verrijking van de Horizonscan meenemen met de voorgenomen wijzigingen van de Horizonscan binnen het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (TSG).⁵⁰

5.2 UMC's kunnen intern de organisatie van hun ATMP-zorg toekomstbestendiger maken

Ziekenhuizen kunnen zich nu al voorbereiden op een toename in ATMP-zorg, en de capaciteit die dit vraagt van onder andere hematologie, de apotheek en het stamcellaboratorium. De rol van de afdeling hematologie bij toekomstige toepassing van CAR T's voor niet-hematologische indicaties vraagt daarbij bijzondere aandacht (§3.1).

Een denkrichting die enkele deelnemers aan de verkenning noemen is het inrichten van CAR T-zorgprocessen als gebundelde “behandelmodaliteit”: infrastructuur en expertise die door meerdere specialismen gebruikt kan worden en op zichzelf staand georganiseerd is, zoals bijvoorbeeld de IC. Deze kunnen zo beschikbaar zijn voor verschillende specialismen in het ziekenhuis die ook met CAR T's te maken (gaan) hebben, zoals oncologie en interne geneeskunde. Op deze manier is expertise gebundeld bij JACIE-geaccrediteerde faciliteiten, en kunnen UMC's het mogelijke risico dat specialismen eigen processen inrichten voorkomen.

5.3 UMC's kunnen onderling en met algemene ziekenhuizen afspraken maken over inzet van capaciteit voor ATMP-zorg

Door capaciteit voor ATMP-zorg slim te verdelen tussen ziekenhuizen kunnen zij knelpunten in capaciteit voorkomen. Dit kan door het centraliseren van kleine indicaties in enkele UMC's (§5.3.1) en het overbrengen van delen van zorgtrajecten voor ATMP's met hogere volumes naar perifere ziekenhuizen (§5.3.2).

5.3.1 UMC's kunnen elkaar ontlasten door te centraliseren bij kleine indicaties

UMC's kunnen ATMP-behandelingen voor (zeer) kleine indicaties centraliseren in enkele UMC's. Dan hoeven alleen specifieke UMC's de betreffende processen te implementeren en is het niet nodig dat elk UMC bekend raakt met de eventuele nieuwe werkwijzen, administratie, training en

⁵⁰ In de plannen van het TSG staat opgenomen dat risico's voor het basispakket eerder in kaart gebracht worden met een verrijking van de Horizonscan. ([link](#))

audits. In praktijk is toediening van bijvoorbeeld geregistreerde in vivo gentherapieën voor (ultra-)weesindicaties⁵¹ al gecentraliseerd, zoals Zolgensma.

Deelnemers aan de verkenning geven wel aan dat het actief verdelen over UMC's van behandelingen voor iets grotere indicaties dan ultra-wees wellicht lastig blijkt omdat UMC's (alle) behandelingen voor patiënten vaak zelf willen aanbieden. Uitspraken van wetenschappelijke verenigingen over volumennormen bij ATMP-zorg kunnen bijdragen aan het maken van onderlinge afspraken tussen UMC's.

5.3.2 Perifere ziekenhuizen kunnen de druk op UMC's verlichten door het overnemen van (delen van) zorgtrajecten

Decentralisatie van ATMP-zorg naar perifere ziekenhuizen kan UMC's ontlasten en knelpunten in de toekomst voorkomen. Deelnemers aan de verkenning geven aan dat dit alleen mogelijk zal zijn voor producten en indicaties waar UMC's al langere periode ervaring mee hebben, zodat behandelverloop en bijwerkingen relatief voorspelbaar zijn. Ook is het belangrijk dat de behandelvolumes relatief hoog liggen, omdat ook het kwalificeren van een perifere ziekenhuis veel inzet zal vragen, en zodat perifere ziekenhuizen professionals effectief kunnen inzetten. Bij enkele in vivo gentherapieën, zoals bijvoorbeeld Luxturna, was er al sprake van toepassing in een perifere ziekenhuis⁵².

Voor ex vivo celtherapieën zoals de CAR T's, waar we de grootste knelpunten in capaciteit verwachten, is het overdragen van zorg naar HOVON echelon-b ziekenhuizen het meest logisch.⁵³ Deze hebben veel van de benodigde fysieke faciliteiten immers al in huis doordat zij stamceltherapie aanbieden. Wel zouden de professionals binnen deze ziekenhuizen nog expertise en ervaring moeten opdoen in zowel de uitvoer als mogelijke complicaties (bijvoorbeeld neurotoxiciteit bij CAR T's) bij ex vivo celtherapieën.

Een eerste stap in het verschuiven van ATMP-zorg naar perifere ziekenhuizen kan het overbrengen van de patiënt na infusie zijn, voor de benodigde ligdagen in de kliniek. Bij stamceltherapie is dit gedeelte van de zorg ook eerst verplaatst naar perifere ziekenhuizen, en intussen zelfs steeds meer naar de thuissituatie. Daarbij is wel expertise rond de symptomen van neurotoxiciteit zeer belangrijk.

⁵¹ Weesindicaties zijn indicaties die voorkomen bij minder dan 5 op de 10.000 patiënten in de EU. Bij ultra-wees spreken we over nog kleinere indicaties, met maximaal 340 personen in Nederland met een aandoening. Bron: Zorginstituut (2015) Pakketbeheer weesgeneesmiddelen ([link](#)).

⁵² Het oogziekenhuis in Rotterdam behandelt patiënten met Luxturna voor de behandeling van erfelijke netvlies dystrofieën ([link](#)).

⁵³ Enkele deelnemers benoemen dat het inzetten van CAR T's bij echelon b ziekenhuizen al verkend wordt.

Bijlage 1 Overzicht aanbevelingen

Actor	Aanbeveling	Paragraaf
UMC's/UMCNL	Deel oplossingen met elkaar voor het verlichten van knelpunten rond training, audits en administratie bij ATMP-zorg, mogelijk met ondersteuning van consortia zoals ATMP-NL, DARE-NL, HOVON.	4.1
	Identificeer gezamenlijk specifieke verschillen in werkwijzen die knelpunten vormen in de zorgpraktijk door de onderlinge variatie. Vraag hiervoor internationaal, o.a. bij EMA (via CBG), aandacht.	4.3.1
	Bereid de interne organisatie voor op een toename in ATMP-zorg, en de capaciteit die dit vraagt van onder andere hematologie, de apotheek en het stamcellaboratorium.	5.2
	Maak met elkaar afspraken over inzet van capaciteit voor ATMP-zorg: • UMC's kunnen elkaar ontlasten door te centraliseren bij kleine indicaties. • Perifere ziekenhuizen kunnen de druk op UMC's verlichten door het overnemen van (delen van) zorgtrajecten.	5.3
Firma's (via bijv. VIG of HollandBio) samen met UMC's/UMCNL	Dring dubbeling in training en audits terug: • Voer audits enkel uit indien aanvullend op bestaande erkenningen. • Standaardiseer training en certificering van professionals. • Werk met een gemeenschappelijke auditor en/of trainer.	4.2.1
	Harmoniseer werkwijzen zoveel mogelijk: • Vergelijk als UMC's/UMCNL de huidige werkwijzen per ATMP en bespreek met firma's of de gevonden verschillen noodzakelijk zijn. • Ontwikkel als UMC's/UMCNL gezamenlijke Nederlandse standaarden voor werkwijzen die firma's kunnen overnemen.	4.2.2
	Stel een modelcontract op voor het leveren van ATMP-zorg.	4.2.3
Ministerie van VWS	Ga in gesprek met UMCNL om te kijken hoe zij (bovenstaande) oplossingsrichtingen op kunnen pakken en hoe het ministerie hier eventueel bij kan ondersteunen.	4.2
	Vraag in Europa (EMA, EC) via CBG aandacht voor benodigde veranderingen om knelpunten te verminderen.	4.3
	Vraag het Zorginstituut om de bestaande informatie uit de Horizonscan regelmatig te verrijken met een inschatting van de verwachte capaciteitseffecten op basis van de pijplijn aan ATMP's en de (eventuele) behandelingen die de ATMP-behandeling vervangt en/of voorkomt.	5.1
	Onderzoek of er voor de relevante tekortberoepen (o.a. verpleegkundigen, apothekers(assistenten), aferese- en stamcellabmedewerkers) voldoende wordt ingezet op instroom en of de benodigde kennis en vaardigheden voor ATMP-zorg voldoende onderdeel zijn van het curriculum. Kijk daarbij naar opleidingen op alle niveaus.	5
EMA en EC (evt. via CBG)	Maak harmonisatie van ATMP-werkwijzen mogelijk via <i>worksharing</i> .	4.3.1
	Vergemakkelijk (kleine) wijzigingen in werkwijzen van ATMP's om aansluiting bij praktijk te verbeteren.	4.3.2
Consortia ATMP-NL, DARE-NL	Ondersteun ziekenhuizen in het verminderen van de last van training, audits en administratie, bijvoorbeeld door uitwisseling bij een landelijke "implementatietafel".	4.1

Actor	Aanbeveling	Paragraaf
Beroepsverenigingen HOVON, EBMT	Ondersteun ziekenhuizen in het verminderen van de last van training, audits en administratie.	4.1
	Stel in samenwerking met UMC's standaard werkwijzen vast die firma's mogelijk kunnen accepteren voor hun product.	4.2.2
	Vraag in Europa (EMA, EC) via CBG aandacht voor benodigde veranderingen om knelpunten te verminderen.	4.3
ZonMw	Start vervolgonderzoek naar de juridische mogelijkheden voor firma's om bestaande erkenningen van ziekenhuizen te accepteren in hun eigen kwalificatie van ziekenhuizen.	4.2.1
	Start vervolgonderzoek naar waar harmonisatie van werkwijzen gewenst en kansrijk is.	4.3.1
	Start vervolgonderzoek naar de mogelijkheden van het doorvoeren van (kleine) wijzigingen in werkwijzen, zowel binnen huidige wet- en regelgeving als na aanpassingen in wet- en regelgeving via de EMA/EC.	4.3.2

Bijlage 2 Begrippenlijst

We gebruiken in dit rapport verschillende afkortingen en begrippen die we kort toelichten in deze bijlage.

Begrip of afkorting	Toelichting
Aferese	Het proces waarbij bloedbestanddelen van elkaar worden gescheiden om selectief één of meer componenten af te nemen. (link)
aRMM	Additional Risk Minimisation Measures: additionele maatregelen die EMA firma's vraagt te nemen om risico's bij het geneesmiddel te minimaliseren. Denk bijvoorbeeld aan lesmateriaal en veiligheidsadvies, maar ook het vereisen van training van zorgprofessionals in o.a. de toediening van het geneesmiddel. (link)
ATMP	Advanced Therapy Medicinal Product: geneesmiddelen voor geavanceerde therapie zoals cel- en gentherapie en weefseltherapie. EMA onderscheidt drie hoofdtypen: gentherapie, somatische celtherapie en weefseltherapie. Daarnaast bestaan er gecombineerde ATMP's, waarbij één van bovenstaande typen gecombineerd is met één of meerdere medische hulpmiddelen. (link)
Bureau GGO	Bureau genetisch gemodificeerde organismen, controleert aanmeldingen voor het werken met genetisch gemodificeerde organismen en verleent hiervoor vergunningen. (link)
CAR T	Chimeric antigen receptor T-cellen: gemodificeerde T-cellen van de patiënt, welke zijn opgekweekt tot grote hoeveelheden om in te zetten als behandeling. De cellen binden zich aan specifieke receptoren van bijvoorbeeld tumoren om deze 'aan te vallen'. (link)
CBG	College ter beoordeling geneesmiddelen, met wettelijke taken in globaal drie categorieën: het beoordelen van medicijnen, het bewaken van de bijwerkingen en risico's en het stimuleren van goed gebruik van medicijnen. Daarnaast is een belangrijke taak het geven van wetenschappelijk advies aan medicijnbedrijven. (link)
COGEM	Commissie genetische modificatie, adviseert de regering over veiligheid van genetische modificatie en signaleert ethisch-maatschappelijke thema's. (link)
EBMT	Europese vereniging voor bloed- en stamceltransplantaties. Non-profit medische en wetenschappelijke organisatie o.a. betrokken bij patiëntregisters voor stamceltransplantaties en CAR T therapieën.
EMA	Europees geneesmiddelenbureau, belast met de goedkeuring en het toezicht op geneesmiddelen in de EU. (link)
Ex vivo, cell-based gentherapie	Geneesmiddel geproduceerd uit cellen van de patiënt, waarbij de wijzigingen aan de cellen in bijvoorbeeld een laboratorium plaatsvinden. De cellen met therapeutische waarde worden toegediend aan de patiënt als therapie. (link)
Farmaco-vigilantie	De wetenschap en activiteiten gerelateerd aan het opsporen, beoordelen, begrijpen en voorkomen van bijwerkingen en andere geneesmiddel-gerelateerde problemen. EMA coördineert het EU-brede pharmaco-vigilantie systeem en verricht diensten om pharmaco-vigilantie in de EU te

Begrip of afkorting	Toelichting
	ondersteunen. Van MAH's wordt verwacht dat zij ook hun eigen pharmaco-vigilantie systemen hebben en beheren. (link)
Hospital exemption (HE)	In bepaalde situaties kan een uitzondering worden gemaakt op de eis dat een ATMP een handelsvergunning via de centrale Europese procedure moet hebben. Deze uitzondering noemen we de 'ziekenhuisuitzondering', hospital exemption. De IGJ is verantwoordelijk voor de beoordeling van de hospital exemption. (link)
HOVON	Stichting Hemato-Oncologie Volwassenen Nederland. Stichting met als kerntaak het uitvoeren van klinische studies, biomarker- en translationele studies en het ontwikkelen van ziektespecifieke richtlijnen op het gebied van hematologische aandoeningen. (link)
IGJ	Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd, houdt toezicht op de veiligheid van geneesmiddelen bij onder meer farmaceutische bedrijven, apotheken en voorschrijvers. Hierbij houden ze bijvoorbeeld toezicht op de productie van geneesmiddelen (GMP), distributie van geneesmiddelen (GDP) en farmacovigilantie. Bij ATMP's moet de IGJ de bereiding en het gebruik van producten onder <i>hospital exemption</i> goedkeuren. (link)
In vivo gentherapie	Geneesmiddel geproduceerd zonder cellen van de patiënt. Wijzigingen die (mogelijk) ten gevolge van de therapie aan cellen plaatsvinden, gebeuren in het lichaam. De cellen met therapeutische waarden worden in het lichaam zelf aangemaakt ten gevolge van het toegediende geneesmiddel, doordat genen ingebracht worden in cellen van de patiënt middels een injectie met synthetische of virale vectoren. (link)
JACIE	<i>Joint Accreditation Committee-ISCT & EBMT</i> , een non-profit instelling met als doel het proces van stamceltransplantatie te beoordelen en accrediteren. (link)
MAH	Market authorisation holder: de farmaceutische firma (of andere entiteit) die verantwoordelijk is voor de marktregistratie en daarbij uitvoerder is van bijvoorbeeld de opgelegde verantwoordelijkheden in post-autorisatie. (link)
RIVM	Rijksinstituut voor Volksgezondheid en Milieu. Het bureau GGO is onderdeel van het RIVM. Daarnaast heeft het RIVM taken rondom geneesmiddelen zoals beleidsadvisering en signalering. (link)
UMC en UMCNL	Universitair Medisch Centrum, een academisch ziekenhuis verbonden aan een universiteit waar complexe zorg wordt uitgevoerd waar gespecialiseerde voorzieningen voor nodig zijn. Daarnaast wordt er wetenschappelijk onderzoek gedaan, worden artsen opgeleid en nieuwe medische behandelingen ontwikkeld. UMCNL is de koepelorganisatie van de UMC's. (link)
VTGM	Voor toediening gereedmaken van een geneesmiddel. (link)

Bijlage 3 Achtergrondinformatie

We gaan in deze bijlage eerst in op de ontwikkeling in het aanbod van ATMP's. Die hebben we geprobeerd te kwantificeren, maar dit bleek lastig. Hieronder lichten we toe waarom.

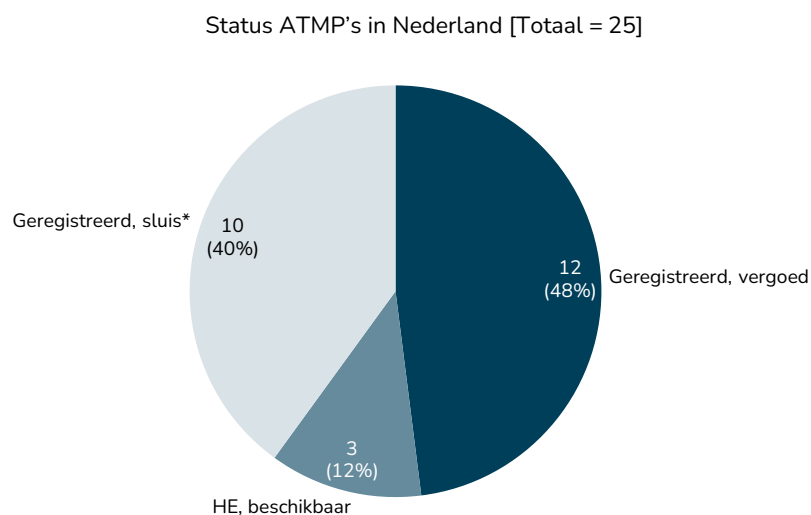
Daarna gaan we kort in op de bevindingen rondom in vivo gentherapieën die we ophaalden. In het hoofdrapport focusten we op de knelpunten bij de toepassing van ex vivo celtherapieën omdat deelnemers aan de verkenning aangaven hier vooral knelpunten te ervaren.

Ontwikkeling in aanbod ATMP's

We hebben getracht op basis van openbare databronnen zoals de Horizonscan en informatie over klinisch onderzoek een grove inschatting te maken van de groei in het aantal behandelingen met verschillende ATMP's in de zorgpraktijk. Omdat het moeilijk te zeggen is welke indicaties de markt bereiken, en in het geval van Nederland wanneer het geneesmiddel daadwerkelijk beschikbaar komt in ziekenhuizen, hebben we deze inschatting niet meegenomen in het hoofdrapport. Daarbij zagen we bij het analyseren van de Horizonscan dat gegevens als verwachte registratiedatum en aantal patiënten kunnen veranderen, wat conclusies over meerdere jaren bemoeilijkt.

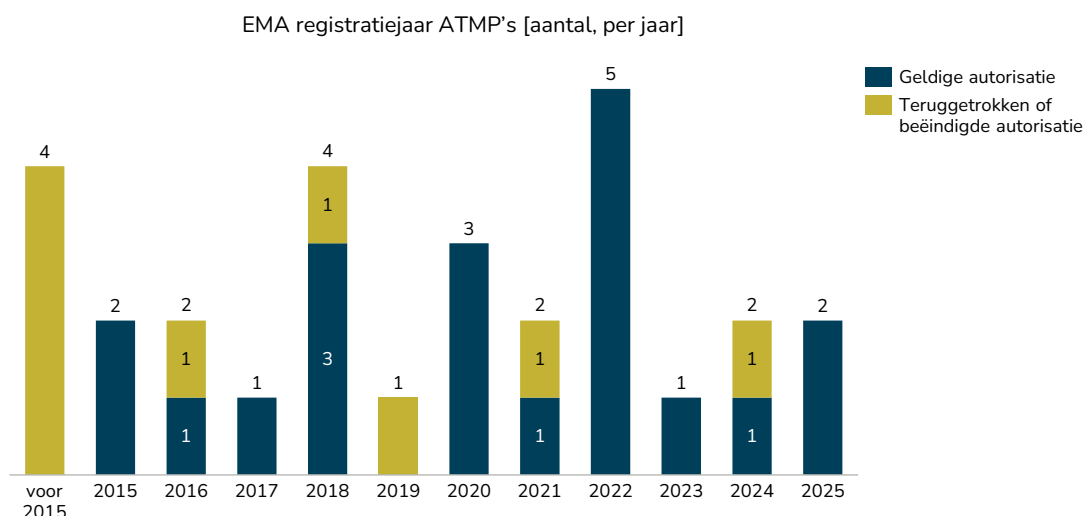
Ontwikkelingen in aantal beschikbare ATMP's in Nederland

We zien dat in Nederland op het moment van deze verkenning ongeveer de helft van de mogelijk beschikbare ATMP's in Nederland in de sluis zitten (Figuur 4).



Figuur 4. Ongeveer een kwart van de (eerder) beschikbare en/of geregistreerde ATMP's is momenteel in Nederland beschikbaar. Bron: Analyse SiRM o.b.v. Horizonscans juni 2021 t/m juni 2025, euroCGT (2023) The Authorised ATMPs in the EU, COGEM (2024), De waarde van gentherapie, EPARs via EMA, website Zorginstituut, EC (2025), study on the hospital exemption

We zien in de afgelopen tien jaar in aantal registraties bij de EMA geen stijgende trend in het aantal registraties van ATMP's. Wel is er een opmerkelijke piek met zes registraties in 2022 (Figuur 5). Daarnaast zien we in verschillende jaren teruggetrokken autorisaties.



Figuur 5. Er is geen duidelijke trend in het aantal registraties van ATMP's bij EMA per jaar. Bron: Analyse SiRM o.b.v. CAT quarterly highlights and approved ATMP's 2020-2025.

Ontwikkeling van het aantal behandelingen met ATMP's in de Nederlandse zorgpraktijk

We keken daarnaast naar indicaties waar onderzoek naar ATMP-inzet plaatsvindt. Verschillende verwachte toepassingen van ATMP's omvatten indicaties die groter zijn dan de in de huidige praktijk beschikbare toepassingen:

- Regulatorische T-cellen (TREGS) bij diabetes type 1 (stadium 1) heeft op de Horizonscan een inschatting van een patiëntvolume van 80.000 per jaar. De fabrikant die deze TREGS ontwikkelt, onderzoekt ook inzet van dit (type) geneesmiddel in andere stadia van diabetes type 1 en inzet bij neuroinflammatoire en neurodegeneratieve ziekten zoals vormen van MS en ALS.⁵⁴
- CAR T's bij auto-immuunziekten kan in de toekomst tot grote patiëntgroepen leiden. Firma's en/of ziekenhuizen onderzoeken momenteel de inzet van CAR T's bij:
 - Systemische lupus erythematosus (SLE), systemische sclerose, myositis en myasthenia gravis. Dit zijn relatief kleine indicatiegebieden (prevalentie ~10-30 per 100.000 per indicatie).⁵⁵
 - Reumatoïde artritis (~260.000 patiënten in Nederland) en colitis ulcerosa (~50.000 patiënten in Nederland). Onderzoek is bij deze indicaties veelbelovend, maar nog in vroege fases.⁵⁶

Naast het met deskresearch inzichtelijk maken van de ontwikkelingen bespraken we in interviews de verwachtingen van deelnemers aan de verkenning over de groei van behandelingen met ATMP's in de Nederlandse zorgpraktijk. Zij benoemden onder andere de volgende ontwikkelingen die de groei van de toepassing van ATMP's in de zorgpraktijk beïnvloeden:

⁵⁴ Bron: Horizonscan juni 2025, website polTREG ([link](#))

⁵⁵ Bron: Amsterdam UMC (2025). €14.6 Million for CAR T Cell Therapy Research in Autoimmune Diseases. ([link](#))

⁵⁶ Bron: Nature (2025): 'They don't have symptoms': CAR T therapies send autoimmune diseases into remission. ([link](#))

- Mogelijke (nieuwe) toepassingen van ATMP's vragen om meermalige toedieningen aan de patiënt. Afhankelijk van het middel kan dit gepaard gaan met monitoring en nazorg na elke toediening.
- Ontwikkeling van in vivo alternatieven voor nu nog ex vivo celtherapieën, denk bijvoorbeeld aan in vivo CAR T's, kunnen de ervaren knelpunten terugdringen. Celfname is immers niet meer nodig. Doordat je hiermee mogelijk bepaalde capaciteitsproblemen oplost, kan de toepassing ervan (verder) toenemen.

Bevindingen in vivo gentherapieën

In het hoofdrapport omschrijven we met name knelpunten die de zorgpraktijk ervaart bij de toepassing van ex vivo celtherapieën. We bespraken met deelnemers ook breder de toepassing van andere ATMP's. In de huidige praktijk gaat het dan voornamelijk om in vivo gentherapieën. In Nederland zijn een beperkt aantal in vivo gentherapieën beschikbaar. Het gaat om onderstaande therapieën, met het verwachte patiëntaantal op basis van de Horizonscan:

- Zolgensma voor spinale musculaire atrofie, met een verwacht patiëntaantal van 15 per jaar.
- Luxturna voor erfelijke retinitis pigmentosa, met een verwacht patiëntaantal van 2 per jaar.
- Upstaza voor AADC-deficiëntie, met een verwacht patiëntaantal van 1 per jaar.
- Imlygic voor melanoom, met een verwacht patiëntaantal van 1.085 per jaar.⁵⁷

Enkele deelnemers aan de verkenning hebben (uitgebreide) ervaring met het toedienen van in vivo gentherapieën. Zij geven hierbij aan minder knelpunten te ervaren, omdat ze deze therapieën “off-the-shelf” toedienen: het product dat zij afnemen is niet patiënt-specifiek. Wel kan toediening gebonden zijn aan specifieke vereisten vanuit het feit dat het geneesmiddel genetisch gemodificeerd is. Ze geven aan dat er verschillen kunnen zijn in de vereisten gedurende de studiefases, opgelegd door *biosafety officers* en vereisten na registratie.

Bij het bespreken van een groei in in vivo gentherapieën, lijken deelnemers minder capaciteitsproblematiek te voorzien dan bij ex vivo celtherapieën. Niet omdat ze geen toename verwachten in het aantal behandelingen, maar omdat ze per behandeling minder inzet verwachten. Daarnaast is de potentie van deze therapieën volgens deelnemers groot, met verwachte verschuivingen in zorg zoals omschreven in §3.2.2.

⁵⁷ Bron: COGEM (2024). De waarde van gentherapie. ([link](#))

Bijlage 4 Aanpak verkenning

Adviesbureau SiRM (*Strategies in Regulated Markets*) voerde deze verkenning uit in opdracht van ZonMw. Inzichten uit kwalitatief en kwantitatief deskresearch, interviews, praktijkbezoeken en een verdiepingssessie vormen de basis van deze verkenning.

Gedurende de verkenning kwamen we drie keer bijeen met een begeleidingscommissie, bestaande uit professionals uit de zorgpraktijk, de industrie, VWS en ZonMw (Tabel 2). De begeleidingscommissie adviseerde over het proces, gaf feedback en waarborgde de betrokkenheid van belanghebbenden gedurende de verkenning.

Tabel 2. In de begeleidingscommissie gedurende het traject namen verschillende gegadigden uit de zorgpraktijk, overheid en industrie deel.

Type organisatie	Organisatie	Naam
Advies	Biomedische consultancy	Ineke Slaper-Cortenbach
Industrie	Prime Life Science BV	Markwin Velders
Netwerkorganisatie	FAST	Mike Broeders
Overheid	Ministerie van VWS (toehoorders)	Femke Stoffels
		Joanna Udo de Haes
Overheid (zelfstandig bestuursorgaan)	ZonMw	Karien de Rooij
		Fleur Heeres
Zorgpraktijk	Radboudumc	Anna de Goede
	UMC Utrecht	Jasmijn Korpershoek

Kwalitatief en kwantitatief deskresearch

Voor de kwalitatieve deskresearch in deze verkenning analyseerden we verschillende bronnen. We bekeken zowel bronnen aangeleverd door experts uit de begeleidingscommissie, interviews en/of praktijkbezoeken als openbaar beschikbare bronnen. Hierbinnen hadden we geen focus op alleen wetenschappelijke literatuur, maar ook bredere onderzoeksrapporten over de knelpunten die de zorgpraktijk ervaart bij ATMP-zorg. De verwijzingen naar documenten die we gebruikten in het rapport staan opgenomen in de voetnoten van de hoofdtekst.

Voor de kwantitatieve deskresearch bekeken we verschillende versies van de Horizonscan geneesmiddelen. Op basis hiervan trachtten we een inschatting te maken van de groei in het aantal geregistreerde ATMP's en behandelingen hiermee in Nederland. De resultaten hiervan omschrijven we grotendeels in Bijlage 3.

Interviews

We voerden in totaal 21 interviews (Tabel 3). Deze interviews voerden we semigestructureerd met gebruik van een interviewleidraad (Figuur 6).

Tabel 3. We interviewden verschillende stakeholders over huidige en toekomstige knelpunten in ATMP-zorg.

Categorie	Organisatie	Functie(s)
Firma	Bristol Myers Squibb	Policy & governmental affairs senior manager
	Gilead	Market access cell therapy, business unit director cell therapy
	Novartis	Head public affairs
	Roche	Patient access manager & policy lead
Koepel	DARE-NL	Hoofddocent translationele tumor immunologie, ATMP-ontwikkeling
	PharmaNL	Consultant
Onderzoek	Sanquin	Medisch bioloog (QP), head laboratory for cell therapy
Overheid	IGJ	GMP inspecteur
	CBG	Scientific Assessors
	RIVM	Bureau GGO
Patiënten-vereniging	Hematon	Voorzitter commissie Belangenbehartiging
Zorgpraktijk	Amsterdam UMC	Ziekenhuisapotheker
	Erasmus MC	Ziekenhuisapotheker
	Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC)	Hoofd ATMP-centrum, hoofd interne geneeskunde
	Maastricht Universitair Medisch Centrum (MUMC)	Orthopeed
	Nederlands Kanker Instituut (NKI)	Hoofd translationele celtherapie
	Prinses Maxima Centrum	Kinderoncoloog
	Radboudumc	Hoogleraar translationele immunohematologie, ziekenhuisapotheker, kwaliteitsmedewerker, hematoloog
	UMC Groningen	Director cellulaire therapie laboratorium
	UMC Utrecht	Hoogleraar hematologie, kinderarts metabole ziekten, onderzoeker

Verkenning infrastructuur ATMP's in de zorgpraktijk | Aanleiding & opzet interview

Aanleiding voor verkenning	Opzet van interview	
• Toepassing van ATMP's in de zorgpraktijk vereist complexe infrastructuur (personeel, faciliteiten, systemen en processen). Hierdoor kunnen knelpunten ontstaan. • ZonMw heeft SiRM gevraagd om een verkenning: 1. Verifiëren van bestaande knelpunten in de zorgpraktijk 2. In kaart brengen van de impact van toekomstige ontwikkelingen op bestaande en nieuwe knelpunten 3. Formuleren van mogelijke oplossingsrichtingen en acties • VWS heeft gevraagd om dit rapport zodat toekomstige knelpunten opgepakt kunnen worden in beleid. • De focus van de verkenning ligt op geregistreerde ATMP's. • Knelpunten in vergoeding zijn geen onderdeel van deze verkenning.	We nemen bekende knelpunten als startpunt (details op volgende pagina's)	We bespreken graag of u de knelpunten herkent, hoe zij zich zullen ontwikkelen en wat oplossingsrichtingen zijn
	<i>Toepassing van (meerdere) ATMP's vraagt een grote inspanning voor een ziekenhuis, omdat:</i>	1. Huidige situatie: Welke knelpunten herkent u, welke mist u?
	 Het vraagt inzet van schaars personeel dat uitgebreid getraind moet worden	2. Groei: Voorziet u dat bestaande of nieuwe knelpunten een probleem vormen bij ~5 keer meer (behandelingen met) ATMP's? Ziet u gevolgen van eventuele competitie tussen toepassing van geregistreerde ATMP's, hospital exemption, en klinisch onderzoek?
	 De administratieve lasten zijn hoog	3. Academische productie: Hoe verwacht u dat knelpunten zich ontwikkelen bij productie in ziekenhuizen? Welke consequenties ziet u bij productie "zo dicht mogelijk bij de patiënt"?
	 Het organiseren van ATMP-zorg is complex	4. (De)centralisatie: Wat zijn voor-/nadelen van (de)centralisatie ¹ van ATMP-zorg? Hoe verwacht u dat knelpunten zich ontwikkelen als (de)centralisatie optreedt?
	Knelpunten in productie (geen focus van deze verkenning)	5. Oplossingsrichtingen: Welke oplossingen ziet u om knelpunten te ondervangen?

1. Gecentraliseerd bij een aantal UMC's of juist ook in perifere ziekenhuizen. Het gaat hierbij expliciet om de toepassing en niet de productie. Het interview is vertrouwelijk. We aggregeren de inzichten en verwerken deze op een niet-herleidbare manier

1

Verkenning infrastructuur ATMP's in de zorgpraktijk | Knelpunten (1/2)

Hieronder ziet u knelpunten die naar voren kwamen uit deskresearch. Tijdens het interview bespreken we hierbij de vragen op het voorblad, bijvoorbeeld welke knelpunten u herkent, welke u mist, hoe deze zich zullen ontwikkelen in de toekomst en wat oplossingsrichtingen zijn.

Het vraagt inzet van schaars personeel dat uitgebreid getraind moet worden		De administratieve lasten zijn hoog	
Personeel benodigd voor ATMP-zorg is schaars	Training van personeel vraagt grote, soms onnodige, inspanning	Vereisten vanuit MAH leiden tot hoge administratielast	Vereisten vanuit overheids-regelgeving resulteren in hoge administratieve lasten
• Klinisch personeel benodigd voor ATMP-zorg is schaars (medisch specialisten, verpleegkundigen, apothekers, ..). • Ondersteunend personeel benodigd voor ATMP-zorg is schaars (logistiek, ICT, planning en coördinatie, ..).	• Er moet veel personeel getraind worden. • Er zijn veel verschillende trainingen (training per ATMP), die deels met elkaar overlappen. • De trainingen zijn niet op juiste kennisniveau en sluiten daarmee niet aan op de behoefte. • Er zijn onvoldoende trainers voor het (tijdig) trainen van personeel.	• Zorgverleners moeten (onnodig) veel data registreren, en soms data nog eens invoeren die het ziekenhuis zelf ook al registreert. • MAH's gebruiken verschillende ICT-platforms voor dataregistratie en het plannen en bestellen van de behandeling. • MAH's voeren periodiek uitgebreide audits per ATMP uit.	• Medewerkers moeten elke stap in het proces vastleggen (strikte vereisten chain of custody én chain of control). • Verschillende betrokken autoriteiten hebben verschillende vereisten (o.a. IGI, Bureau GGO¹, TRIP²).

1. Genetisch Gemodificeerd Organisme
2. Transfusie- en Transplantatiereactie in Patiënten

2

Verkenning infrastructuur ATMP's in de zorgpraktijk | Knelpunten (2/2)

Hieronder ziet u knelpunten die naar voren kwamen uit deskresearch. Tijdens het interview bespreken we hierbij de vragen op het voorblad, bijvoorbeeld welke knelpunten u herkent, welke u mist, hoe deze zich zullen ontwikkelen in de toekomst en wat oplossingsrichtingen zijn.

Het organiseren van ATMP-zorg is complex	
ATMP-zorg vraagt veel van de ziekenhuisapotheek	ATMP-zorg leidt tot organisatorische uitdagingen in de rest van het ziekenhuis
- Het is lastig om de basisinfrastructuur in de ziekenhuisapotheek te garanderen (duur, beschikbaarheid, fysieke ruimte, ...). - Het startmateriaal vereist borging van steriliteit, opbrengst, houdbaarheid en opslag. - De ontvangst en opslag van de ATMP vereisen controle van veel informatie en afwijkende omstandigheden (specifieke opslagtemperatuur, aanlevering op droogijs of in dryshipper, ..). - De SOP's leggen fors beslag op het apothekerspersoneel, o.a. door SOPs die afwijken van praktijk in NL, SOPs van verschillende MAH's die (minimaal) verschillen.	- De tijd tussen aanvraag en beschikbaarheid is lang, met intussen gevolgen voor gezondheid van patiënt. - De onduidelijkheid over de datum van levering van de ATMP beperkt de planning van de voorbehandeling. - De <i>in-use stability</i> (houdbaarheid na VTGM¹) van sommige ATMP's is kort. - De opvolging van patiënten is veel langer dan bij de meeste andere behandelingen, waarbij uitkomstmaten en data over bijwerkingen over een lange periode verzameld moeten worden. - De intransparantie vanuit de MAH over de samenstelling van de ATMP bemoeilijkt nader onderzoek naar relatie tussen het startmateriaal, de productspecificaties en de klinische uitkomst. - Afhankelijk van positionering van aferese-afdeling dient deze mogelijk samenwerking met andere specialismes op te zetten.

Het interview is vertrouwelijk. We aggregeren de inzichten en verwerken deze op een niet-herleidbare manier. 1. Voor Toediening Gereed Maken. 3

Figuur 6. We interviewden experts op basis van een interviewleidraad met vragen over de in kaart gebrachte knelpunten in de bijlagen, hun toekomstverwachtingen voor ATMP-zorg en enkele andere relevante onderwerpen.

Praktijkbezoeken

We bezochten drie UMC's om in gesprek te gaan met verschillende medewerkers die vaak geen interviewees en/of invuller van vragenlijsten zijn (Tabel 4). In korte gesprekken gingen we met hen in op de inzichten die we eerder ophaalden uit de interviews.

Tabel 4. We bezochten drie UMC's waar we verschillende medewerkers uit de zorgpraktijk spraken.

Centrum	Functie
AUMC	Aferese verpleegkundige
	CAR T coördinator
	CAR T verpleegkundige
	Coördinerend biologische veiligheidsfunctionaris / gentherapie milieuveiligheidsfunctionaris
	Kwaliteitscoördinator hematologie
	Stamcellabmedewerker
LUMC	Hematoloog
	Hoofd analist stamcellab
	Hoofd centrum cel- en gentherapie
	Hoofd lab translationeel onderzoek
	Klinisch, bio-academisch personeel centrum cel- en gentherapie
	Kwaliteitsadviseur
	Verpleegkundig teamleider hemaferese
	Ziekenhuisapotheker

Centrum	Functie
UMCU	Biologische veiligheidscoördinator / biosafety officer / milieuveiligheidsfunctionaris / environmental safety officer
	Hematoloog
	Hoofd stamceltransplantatie bewerkingen
	Klinische regie verpleegkundige en dagcoördinator
	Kwaliteitsfunctionaris
	Milieu biologische veiligheidsfunctionaris / milieuveiligheidsfunctionaris
	Stamceltransplantatie coördinator en datamanager
	Stamceltransplantatie verpleegkundige

Verdiepingssessie

Uit de interviews en praktijkonderzoeken kwamen globale oplossingsrichtingen die we verder verkenden tijdens een verdiepingssessie met verschillende deelnemers, waaronder enkele leden van de begeleidingscommissie (Tabel 5). We bespraken de drie vaakst benoemde knelpunten in interviews en praktijkbezoeken (genummerd), om hier oplossingsrichtingen (geletterd) voor uit te werken:

- 1 Toepassen van verschillende ATMP's is complex en foutgevoelig door steeds verschillende werkwijzen.
 - a Bepalen van een gezamenlijke Nederlandse standaard voor een aantal protocollen, die firma's kunnen overnemen als nationale standaard voor hun producten (bijv. een Nederlandse standaardprocedure voor aferese).
 - b Stimuleren en/of ondersteunen van firma's om voorgeschreven procedures voor zelfde handling met elkaar in lijn te brengen (bijv. door standaardprotocol vanuit EMA).
- 2 Per ATMP zijn (veel) periodieke training en audits nodig.
 - a Reduceren van het aantal verschillende audits voor de zorgorganisatie (bijv. door samenbrengen audits meerdere producten, en JACIE als basis).
 - b Verbeteren van doelmatigheid en ervaring van training door firma's voor professionals (bijv. train de trainer, meer doelgerichte insteek trainingen).
- 3 ATMP-behandelingen vragen veel capaciteit van schaars personeel en is organisatorisch complex.
 - a Optimaliseren van organisatiemodel voor uitvoer van ATMP's (bijv. delen van best practices samenwerking hematologie en andere specialismen in geval van CAR T's).
 - b Verschuiven van ATMP-zorg naar perifere ziekenhuizen of thuissituatie voor geselecteerde producten en indicaties.
 - c Centraal ondersteunen van UMC's met gestroomlijnde implementatie van (specifieke) ATMP's (bijv. hulp met reductie dubbele administratie, gedeelde juridische capaciteit).

Tabel 5. We concretiseerden oplossingsrichtingen in een verdiepingssessie met deelnemers vanuit verschillende typen stakeholders.

Categorie	Organisatie	Functie(s)
Firma	Bristol Myers Squibb	Policy & governmental affairs senior manager
Koepel	FAST	Adviseur, begeleidingscommissie
Onderzoek	Sanquin	Head laboratory for cell therapy
Onderzoek	Sanquin	Medisch bioloog (QP)
Overheid	CBG	Senior scientific assessor pharmacovigilance
Overheid	IGJ	Inspecteur
Zorgpraktijk	Amsterdam UMC	Ziekenhuisapotheker
Zorgpraktijk	LUMC	Hoogleraar diabetologie
Zorgpraktijk	UMC Utrecht	Hoogleraar hematologie
Zorgpraktijk	UMC Utrecht	Hoofd stamceltransplantatie bewerkingen
Zorgpraktijk	UMC Utrecht	Staflid productie ATMP's
Zorgpraktijk	UMC Utrecht	Assistent professor, begeleidingscommissie
Overig	Biomedische consultancy	Adviseur, begeleidingscommissie