

Kenmerk: ZN-KC-2023-007

Betreft: Standpunt inzake de behandeling van de ziekte van Pompe met  
alglucosidasa alfa

Datum: Juni 2023

---

## Inleiding

Zorgverzekeraars Nederland (ZN) heeft voor een aantal behandelingen met dure, specialistische geneesmiddelen standpunten geformuleerd ten aanzien van de instellingen die een dergelijke behandeling willen aanbieden. De standpunten worden opgesteld door de CieBAG (de ZN-Commissie Beoordeling Add-on Geneesmiddelen) in samenspraak met de wetenschappelijke vereniging behorende bij het betreffende indicatiegebied. Zorgverzekeraars kunnen bij de inkoop gebruik maken van deze standpunten.

## Standpunt inzake de behandeling van de ziekte van Pompe met alglucosidase alfa

Alglucosidase alfa is geregistreerd voor de volgende indicatie:

*Langdurige enzymvervangings therapie (ERT = Enzyme Replacement Therapy) bij patiënten met een bevestigde diagnose van de ziekte van Pompe (zure alfa-glucosidasedeficiëntie) voor volwassen en pediatrische patiënten van alle leeftijden.*

De CieBAG staat op het standpunt dat de behandeling met alglucosidase alfa, gezien de zeldzaamheid van de aandoening en de expertise die voor deze behandeling vereist is, alleen gegeven mag worden in het volgende expertisecentrum:

- Erasmus MC

## Toelichting op het standpunt

De ziekte van Pompe komt bij een op de veertigduizend mensen voor. Per jaar worden in Nederland gemiddeld een tot twee baby's geboren met de ziekte van Pompe en worden er vijf tot zeven oudere kinderen en volwassenen met de ziekte gediagnosticeerd. In het Erasmus MC is het Pompe Centrum gevestigd. Het Erasmus MC is zowel nationaal als internationaal erkend als het expertisecentrum voor de ziekte van Pompe.

Zie ook: <https://www.dvn.nl/nieuws/nieuwsbericht/nieuwe-inwendige-pomp-in-2020>