

# Innovatieve Therapieën

Subsidieronde 2025

Prinses Beatrix  
Spierfonds

*Het Prinses Beatrix Spierfonds financiert, stuurt en stimuleert wetenschappelijk onderzoek naar spierziekten. Omdat we weten dat wetenschappelijk onderzoek de enige sleutel is om alle spierziekten in de toekomst behandelbaar te maken. Door samen te werken met deskundige onderzoekers en alles uit ons onderzoek te halen, boeken we succes. Daarbij hebben we oog voor de kansen die nieuwe technologieën en toepassingen bieden.*

## Programma Medicijnontwikkeling

Het Spierfonds gelooft dat we met wetenschappelijk onderzoek de strijd tegen spierziekten kunnen winnen. Daarom lanceert het Spierfonds een meerjarig programma om de ontwikkeling van medicijnen voor spierziekten in Nederland te versnellen. Met verschillende subsidiemogelijkheden stimuleren we innovatieve benaderingen, multidisciplinaire samenwerking en de toepassing van nieuwe technologieën.

### De subsidieronde 'Innovatieve therapieën'

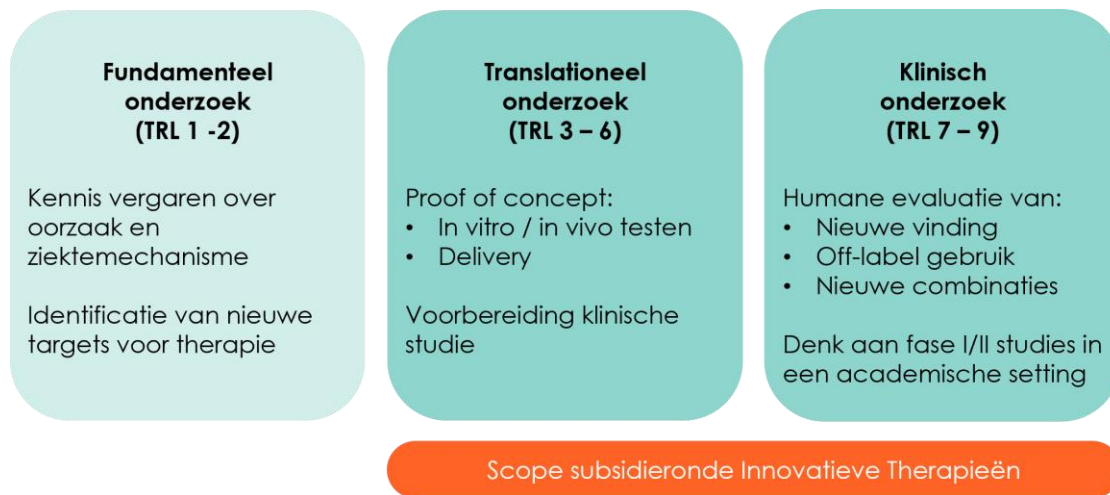
Onderdeel van het Programma Medicijnontwikkeling is de nieuwe subsidieronde 'Innovatieve therapieën'. Het doel van deze ronde is veelbelovende onderzoeksresultaten uit preklinisch onderzoek sneller en effectiever door te ontwikkelen richting klinische toepassing. Wij zoeken projecten die bijdragen aan de ontwikkeling van innovatieve therapieën voor spierziekten die ingrijpen op de oorzaak en/of het ziektemechanisme van de ziekte.

Uitgangspunten:

- **Academisch onderzoek met een sterke focus op toepassing**  
Om veelbelovende onderzoeksresultaten sneller richting toepassing te brengen, moedigt deze subsidieronde een doelgerichte aanpak aan. Wij willen onderzoekers de mogelijkheid bieden innovatieve therapieën door te ontwikkelen. Daarom ondersteunen we translationele en klinische projecten (vanaf ~[Technology readiness level 3](#), zie [figuur 1](#)) die niet alleen wetenschappelijke inzichten vergroten, maar ook concrete stappen zetten richting de volgende ontwikkelfase.
- **Gelijke kansen voor alle spierziekten**  
Het Spierfonds zet zich in voor alle spierziekten, niet alleen voor de meest bekende of meest voorkomende aandoeningen. Dit betekent dat binnen deze subsidieronde geen enkele spierziekte bij voorbaat wordt uitgesloten. Als het onderzoek betrekking heeft op een ultrazeldzame aandoening (minder dan veertig patiënten in Nederland), dan dienen de resultaten uit het onderzoek breder toepasbaar te zijn voor de doelgroep van het Spierfonds.
- **Samenwerking tussen wetenschappers, expertisecentra en relevante partijen**  
Een geïsoleerde onderzoeks aanpak vertraagt de stap van laboratorium naar patiënt. Daarom stimuleren we multidisciplinaire samenwerking en kennisdeling, zowel binnen als buiten de academische wereld. We beoordelen projectvoorstellen onder andere op de kwaliteit en complementariteit van het onderzoeksteam. Ervaring met medicijnontwikkeling is geen vereiste en ook junior onderzoekers kunnen een aanvraag indienen, mits de projectgroep als geheel over de juiste expertise beschikt om het onderzoek succesvol uit te voeren en de resultaten richting toepassing te brengen.
- **Passende looptijd en realistische projectopzet**  
Een goed doordachte projectopzet vergroot de kans op succes. We moedigen onderzoekers aan om een looptijd te kiezen die aansluit bij de beoogde doelen en om zorgvuldig na te denken over de benodigde expertise en personele bezetting. In sommige gevallen, zoals bij sequentiële projecten (waarbij de tweede fase afhankelijk is van de resultaten van de eerste) of bij high-risk high-gain studies, kan een kortere looptijd

helpen om tussentijds de resultaten te evalueren en zo het risico op niet behaalde doelen te beperken. Dit kan de kans op financiering vergroten. In het aanvraagformulier vragen we onderzoekers hun keuzes toe te lichten, zodat beoordeeld kan worden of de voorgestelde looptijd en bezetting realistisch en passend zijn.

Figuur 1: Fases van wetenschappelijk onderzoek naar medicijnontwikkeling.



## Wat voor onderzoek komt in aanmerking?

Projecten die financiering aanvragen binnen deze subsidieronde dienen te voldoen aan de volgende criteria:

- **Relevantie:** Het onderzoek draagt bij aan de ontwikkeling van een innovatieve therapie voor spierziekten (dit kan ook *drug repurposing* zijn) die ingrijpt op de oorzaak en/of het ziektemechanisme.
- **Actualiteit:** Het project adresseert een knelpunt of een cruciale stap in medicijnontwikkeling en heeft een duidelijke meerwaarde binnen het internationale onderzoeksveld.
- **Haalbaarheid:** Het project bevat realistische en goed onderbouwde stappen richting de volgende ontwikkelfase, met een concreet einddoel.
- **Projectgroep:** Het projectteam heeft de juiste expertise en samenstelling om het project succesvol uit te voeren.
- **Patiëntenparticipatie:** Patiënten(vertegenwoordigers) worden actief betrokken bij de opzet en de uitvoer van het project.
- **Impact:** Het onderzoek levert een tastbare bijdrage aan medicijnontwikkeling en brengt veelbelovende therapieën dichterbij de patiënt.

## Beoordeling

### Beoordeling vooraanvragen

Binnen deze subsidieronde werken we met een voorronde om de belasting bij aanvragers zo gering mogelijk te houden. Projectvoorstellen die voldoen aan de voorwaarden zoals genoemd in [bijlage I](#) van deze handleiding worden schriftelijk beoordeeld op de bovengenoemde financieringscriteria door vertegenwoordigers uit de Gebruikerscommissie, Wetenschappelijke Adviesraad (WAR) en afdeling Onderzoek & Innovatie van het Spierfonds. Op basis van deze beoordeling worden maximaal acht vooraanvragen voor verdere

uitwerking geselecteerd. Zij ontvangen vanuit het Spierfonds instructies voor het indienen van een volledige aanvraag.

## Beoordeling volledige aanvragen

Volledige aanvragen worden getoetst door buitenlandse referenten en onze Gebruikerscommissie. Op basis van deze beoordeling wordt een selectie van aanvragers uitgenodigd voor een interview met de evaluatiecommissie, met daarin leden van de WAR en patiënten(vertegenwoordigers). Tijdens het interview krijgt de aanvrager de mogelijkheid het voorstel te presenteren, in te gaan op de beoordelingen en aanvullende vragen van de commissie te beantwoorden. Na afloop van de interviews stelt de commissie een advies op over honorering voor de Raad van Toezicht en het Bestuur van het Spierfonds.

Zie [bijlage II](#) van deze handleiding voor de volledige beoordelingsprocedure.

## Deadline en budget

We nodigen alle onderzoekers van harte uit om een vooraanvraag in te dienen. Dit kan tot donderdag **15 mei 2025 14.00 uur**. Per subsidieaanvraag kan een bedrag worden aangevraagd van € 100.000 - € 350.000 voor projecten van minimaal 1 tot maximaal 4 jaar. Wij streven naar een honoreringspercentage van minimaal 40% van de volledig uitgewerkte aanvragen.

## Tijdspad

De tijdsplanning is als volgt:

Indienen vooraanvraag	15 mei 2025 om 14.00 uur
Uitnodiging uitwerken aanvraag	16 juni 2025
Indienen aanvraag bij Spierfonds	25 augustus 2025 om 14.00 uur
Interview	vrijdag 14 november 2025
Besluit	december 2025

## Contact

Heb je vragen over deze subsidieronde? Bijvoorbeeld of je onderzoeksidee binnen de call past? Wij denken graag mee. Neem hiervoor contact op met Marije Geilenkirchen via [onderzoek@spierfonds.nl](mailto:onderzoek@spierfonds.nl).

## Bijlage I: Voorwaarden

Subsidieaanvragen die in de subsidieronde 'Innovatieve therapieën' van het Prinses Beatrix Spierfonds worden ingediend dienen te voldoen aan onderstaande eisen om voor beoordeling in aanmerking te komen. In geval van twijfel, behoudt het Spierfonds zich het recht voor om een subsidieaanvraag niet in behandeling te nemen. Hierover beslist het Spierfonds op advies van de voorzitter van de Wetenschappelijke Adviesraad. De aanvrager ontvangt hiervan binnen zes weken na het verstrijken van de indieningsdeadline bericht.

### De aanvrager

- De aanvrager is gepromoveerd en heeft (of krijgt) een aanstelling bij de instelling waar het project (merendeels) wordt uitgevoerd, zijnde een Nederlandse universiteit, universitair medisch centrum, instelling voor hoger beroepsonderwijs of KNAW-instituut.
- Een onderzoeker mag in deze subsidieronde maximaal één aanvraag indienen als hoofdaanvrager.
- De aanvrager is het officiële aanspreekpunt voor het Spierfonds tijdens de procedure.
- Een van de leden van de projectgroep is werkzaam bij een door het ministerie van VWS [erkend expertisecentrum voor neuromusculaire ziekten](#).

### Doelstelling

- Het project heeft betrekking op een (of meerdere) van de neuromusculaire ziekten die in [bijlage III](#) worden genoemd.
- Als het onderzoek betrekking heeft op een zeer zeldzame aandoening (minder dan 40 patiënten in Nederland), dient in de aanvraag aangetoond te worden dat de resultaten uit het onderzoek breder toepasbaar zijn voor de doelgroep van het Spierfonds.

### Het project

- Onderzoek dat al is gestart voordat de beoordeling van de WAR heeft plaatsgevonden, komt niet voor financiering in aanmerking.
- Het onderzoek moet voor het grootste gedeelte in Nederland worden verricht. Indien een onderdeel van het onderzoek in het buitenland plaatsvindt, moet het Spierfonds daar vooraf een duidelijk voorstel voor ontvangen.
- Het Spierfonds erkent de noodzaak van dierexperimenteel onderzoek voor wetenschappelijk onderzoek. Als maatschappelijk gedragen organisatie moedigt het alternatieven voor of vermindering van proefdieronderzoek aan. Daarbij worden de [richtlijnen van de Samenwerkende Gezondheidsfondsen](#) gevolgd. Voor onderzoek met proefdieren gelden de volgende voorwaarden:
  - Alleen onderzoek dat gebruik maakt van ongewervelde dieren en kleine knaagdieren komt in aanmerking voor financiering. Onderzoek dat voor een belangrijk deel geënt is op het gebruik van grote zoogdiersoorten wordt niet gesubsidieerd.
  - De ontwikkeling en karakterisatie van diermodellen wordt niet gefinancierd, omdat deze te ver kunnen afstaan van de ziekten die vallen onder de doelstelling.

### Het projectvoorstel

- De (voor)aanvraag is in helder en begrijpelijk Engels opgesteld. Een volledige aanvraag bevat ook een begrijpelijke Nederlandse publiekssamenvatting.

# Prinses Beatrix Spierfonds

- Als in één subsidieronde meerdere projectvoorstellen vanuit dezelfde afdeling worden ingediend op hetzelfde inhoudelijke terrein, dient in een begeleidende brief aangegeven te worden waarom is gekozen voor meerdere verschillende aanvragen, en wat de relatie tussen de aanvragen is.
- Als een projectvoorstel wordt ingediend vanuit een afdeling waar al door het Spierfonds gefinancierd onderzoek loopt op hetzelfde inhoudelijke terrein, moet duidelijk worden toegelicht hoe dit nieuwe voorstel zich daartoe verhoudt.
- Als elders financiering is aangevraagd ten behoeve van het onderzoek vermeld in het projectvoorstel, dient dit met het eventuele resultaat te worden gemeld aan het Spierfonds.

## Regelingen

- Bij het opstellen van het benodigde budget moet de onderzoeker zich houden aan de Regeling Subsidieverlening die het Spierfonds hanteert.
- Na eventuele toekenning van een subsidieaanvraag zijn de Algemene Subsidievoorwaarden van het Spierfonds van toepassing.

## Bijlage II: Beoordelingsprocedure subsidieronde 'Innovatieve therapieën'

### Beoordeling vooraanvragen

Onderzoeksvorstellen die voldoen aan de voorwaarden zoals genoemd in [bijlage I](#) worden schriftelijk beoordeeld op de financieringscriteria (zie pagina 3) door vertegenwoordigers uit onze Gebruikerscommissie en onze Wetenschappelijke Adviesraad (WAR), en de afdeling Onderzoek & Innovatie van het Spierfonds. Op basis van deze beoordeling worden maximaal acht vooraanvragen voor verdere beoordeling geselecteerd. Zij ontvangen vanuit het Spierfonds instructies voor het indienen van een volledige aanvraag.

### Beoordeling volledige aanvragen

Volledige subsidieaanvragen worden inhoudelijk beoordeeld door minimaal drie externe deskundigen (referenten) en minimaal twee leden van de Gebruikerscommissie.

De subsidieaanvragen worden door de referenten op vier criteria beoordeeld:

- Wetenschappelijke kwaliteit en haalbaarheid
- Actualiteit
- Impact
- Kwaliteit projectgroep

De Gebruikerscommissie beoordeelt vanuit patiëntenperspectief op drie criteria:

- Relevantie voor de (toekomstige) patiënt
- Route naar maatschappelijke impact
- Aandacht voor en betrokkenheid van patiënten

Zowel referenten als Gebruikerscommissie-leden brengen geanonimiseerd hun gemotiveerde oordeel uit op het daarvoor bestemde beoordelingsformulier.

### Voorwaarden referenten

Referenten zijn niet-belanghebbenden bij een subsidieaanvraag. De referent en de aanvrager van de subsidieaanvraag mogen geen gezamenlijke publicaties hebben in de afgelopen drie jaar. De referenten worden in het buitenland gezocht, via suggesties van de aanvragers en online databases. Ook wordt gebruik gemaakt van een lijst van externe referenten die in voorgaande jaren een goed beargumenteerde beoordeling hebben gegeven.

### Interviews

Op basis van de beoordeling door de referenten en Gebruikerscommissie wordt een selectie van aanvragers uitgenodigd voor een interview. Hiervoor wordt een evaluatiecommissie samengesteld met daarin leden van de WAR en patiënten-(vertegenwoordigers). Zowel de aanvrager als de commissie ontvangen de beoordeling van de referenten en de Gebruikerscommissie ter voorbereiding op de interviews. Tijdens het interview presenteert de aanvrager het voorgestelde onderzoek en gaat in op de beoordelingen. Na de presentatie zal de commissie de onderzoeker aanvullende vragen stellen over het project. Na afloop van de interviews stelt de evaluatiecommissie een advies op over honorering voor de Raad van Toezicht en het Bestuur van het Spierfonds.

### Honorering / afwijzing

De Raad van Toezicht en het Bestuur van het Spierfonds besluiten op basis van het voorstel voor honorering en afwijzing en het beschikbare budget welke subsidieaanvragen voor subsidiëring in aanmerking komen en welke zullen worden afgewezen. Bij gelijke geschiktheid kan het Spierfonds overgaan op loting.

## Bijlage III: Neuromusculaire ziekten

### Motor neuron ziekten

- Amyotrofische laterale sclerose (ALS)
- Polio en postpoliosyndroom (PPS)
- Primaire laterale sclerose (PLS)
- Progressieve spinale spieratrofie (PSMA)
- Spinale musculaire atrofie (SMA)
- Ziekte van Kennedy

### Perifere zenuwziekten

- Charcot Marie Tooth (CMT / HMSN)
- Chronische idiopathische axonale polyneuropathie (CIAP)
- Dunnevezelneuropathie (DVN)
- Erfelijke drukneuropathie (HNPP)

### Inflammatoire neuropathieën

- Chronische inflammatoire demyeliniserende polyneuropathie (CIDP)
- Guillain-Barré syndroom (GBS)
- Multifocale motore neuropathie (MMN)
- MGUS polyneuropathie
- Neuralgische amyotrofie (NA)

### Ziekten van de neuromusculaire overgang

- Myasthenia gravis (MG)
- Lambert-Eaton myastheen syndroom (LEMS)
- Congenitaal myastheen syndroom

### Spierdystrofieën

- Becker spierdystrofie (BMD)
- Duchenne spierdystrofie (DMD)
- Emery-Dreifuss spierdystrofie (EDS)
- Facioscapulohumerale dystrofie (FSHD)
- Limb girdle spierdystrofie (LGMD)
- Oculopharyngeale spierdystrofie (OPMD)
- Congenitale spierdystrofie (merosin-deficient, Ullrich, dystroglycanopathie, integrin-deficient, rigid spine)
- Distale spierdystrofie (Miyoshi, Nonaka, Welander, Markesbery, Laing)

### Myotone dystrofieën

- Myotone dystrofie
- Niet-dystrofische myotonieën (Thomsen, Becker, Paramyotonia Congenita)
- Periodieke paralysen (PP)

### Congenitale myopathieën

- Ziekte van Brody
- Central core disease
- Myotubular Myopathy/Centronuclear myopathy
- Nemaline myopathie



Inflammatoire myopathieën

- Dermatomyositis
- Inclusion body myositis (IBM)
- Polymyositis

Metabole myopathieën

- Glycogeenstapelingsziekten
- Lipid storage myopathieën
- Mitochondriële myopathieën

- Van de infectieziektes komt alleen poliomyelitis anterior acuta in aanmerking voor financiering.
- Niet in aanmerking voor financiering komt onderzoek naar: ziekten die een gevolg zijn van trauma, diabetes mellitus, cardiovasculaire afwijkingen, kanker, geneesmiddelengebruik of intoxicaties (alcohol); ziekten die een uiting zijn van een psychische ziekte of stoornis; onbegrepen aandoeningen zonder organisch substraat.
- Voor multisysteemziekten dient in de subsidieaanvraag aangetoond te worden dat het gaat om een hoofdzakelijk neuromusculair fenotype waarbij spierzwakte op de voorgrond staat.