

Trial & treatment ready met registraties

Subsidieronde 2026

Prinses Beatrix
Spierfonds

Het Prinses Beatrix Spierfonds financiert, stuurt en stimuleert wetenschappelijk onderzoek naar spierziekten. De ontwikkelingen binnen het spierziektenveld volgen elkaar in hoog tempo op. Nieuwe technologieën, innovatieve behandelmethoden en nauwere samenwerking brengen ons dichterbij wat ooit onhaalbaar leek: een toekomst waarin iedereen met een spierziekte toegang heeft tot effectieve behandelingen. Aan die toekomst wil het Spierfonds een wezenlijke bijdrage leveren. Dat doen we door in Nederland te investeren in de ontwikkeling van nieuwe medicijnen en revalidatie, én door te zorgen dat patiënten hier profiteren van internationale doorbraken.

Programma Trial & Treatment readiness

Wereldwijd groeit het aantal medicijnen dat wordt ontwikkeld voor spierziekten in een ongekend tempo. Deze ontwikkeling biedt enorme kansen voor patiënten. Het Spierfonds wil ervoor zorgen dat mensen in Nederland hier zo snel mogelijk van kunnen profiteren. Met het Programma Trial & Treatment readiness willen we ervoor zorgen dat meer patiënten in Nederland kunnen deelnemen aan (inter)nationale klinische studies waarin nieuwe medicijnen worden getest en dat snellere en betere toegang tot effectieve en betaalbare therapieën wordt gerealiseerd.

De subsidieronde 'Trial & treatment ready met registraties'

Onderdeel van het Programma Trial & Treatment readiness is de subsidieronde 'Trial & treatment ready met registraties'. Registraties zijn essentieel voor trial en treatment readiness. Ze zorgen ervoor dat patiënten vindbaar zijn voor onderzoek, wat klinische studies versnelt en Nederland als triallocatie op de kaart zet. Daarnaast leveren registraties belangrijke data over het natuurlijke beloop van spierziekten, wat belangrijk is om de effectiviteit van een nieuw medicijn te kunnen beoordelen. Ook bij de beoordeling van nieuwe medicijnen spelen registraties een belangrijke rol. Data uit registraties kan input leveren tijdens het proces van Health Technology Assessment (HTA). Tot slot helpen registraties bij de voorbereiding op toekomstige behandelingen: ze geven inzicht in hoeveel patiënten baat kunnen hebben bij een nieuwe therapie en welke capaciteit of expertise nodig zal zijn.

Doel van de subsidieronde

Het doel van deze subsidieronde is ervoor te zorgen dat Nederland is voorzien van goede, zichtbare registraties, die bijdragen aan trial en treatment readiness. Per spierziekte kan het verschillen welke fase van toepassing is en wat ervoor nodig is om dat te bereiken.

Projectaanvragen dienen een van onderstaande doelen als hoofddoel te hebben:

- Het **ontwikkelen** van een nieuwe registratie voor een of meerdere spierziekten (of het toevoegen van een spierziekte aan een bestaande registratie)
- Het uitbreiden van een bestaande registratie met **nieuwe patiënten en/of tijds punten**
- Het uitbreiden van een bestaande registratie met **aanvullende typen informatie** (metingen, vragenlijsten e.d.) ten behoeve van trial en/of treatment readiness

Aanvullend kan een van onderstaande subprojecten worden voorgesteld in de projectaanvraag:

- Analyse van data uit registratie ten behoeve van natuurlijk beloop
- Analyse van data uit registratie ten behoeve van treatment readiness (bijvoorbeeld HTA)

- De registratie geschikt maken voor het aansluiten bij andere databases (FAIRification)
- De registratielast verminderen (automatisering)

Wat is belangrijk?

Belangrijke beoordelingscriteria voor projectaanvragen binnen deze subsidieronde zijn:

- **Urgentie:** voor desbetreffende spierziekte moet registratie nodig en urgent zijn. Er moeten sowieso potentiële medicijnen in de internationale pijplijn zitten. Het gaat dan om tenminste één middel in de klinische fase en/of twee middelen in de preklinische fase. Daarnaast moet de registratie in deze fase niet met andere middelen dan die van het Spierfonds gefinancierd kunnen worden.
- **Haalbaarheid:** het moet realistisch zijn om het voorgestelde aantal patiënten te registreren. Daarnaast moet er een plan zijn om de registratie duurzaam te continueren na afloop van het voorgestelde project. Denk hierbij aan financiering, werklust en inbedding in het expertisecentrum.
- **Patiëntenparticipatie:** ervaringsdeskundigen dienen betrokken te zijn bij alle aspecten van de registratie. Denk aan het bepalen van wat geregistreerd wordt, het ontwikkelen van vragenlijsten en aan de governance van de registratie.

Andere belangrijke elementen binnen de subsidieronde zijn:

- **Zichtbaarheid:** registraties moeten goed zichtbaar zijn voor patiënten en zorgverleners in Nederland, maar vooral ook voor internationale partners zoals farmaceutische bedrijven. Voor dit laatste zijn wetenschappelijke publicaties een belangrijk middel. Er mogen in de begroting kosten voor open access publicatie worden opgevoerd.
- **FAIR:** registraties moeten geschikt zijn voor koppeling met andere databases. Vooral bij nieuw te ontwikkelen registraties is het essentieel om dit vanaf het begin goed in te richten.
- **Kennisdeling:** er bestaan al veel goede registraties voor spierziekten in Nederland. We vinden het belangrijk dat van elkaar geleerd wordt om zo efficiënt mogelijk te werken.
- **Oog voor de toekomst:** niet elke registratie kan vanaf de eerste fase helemaal volledig zijn, maar anticiperen op uitbreiding in de loop van de tijd is wel vanaf het begin al belangrijk.

Procedure

In deze subsidieronde wordt gewerkt met een vooraanvraag. De vooraanvragen zullen worden beoordeeld op urgentie en een eerste inschatting van de haalbaarheid. Spierziekten Centrum Nederland en patiëntenvereniging Spierziekten Nederland adviseren het Spierfonds in hoeverre de vooraanvragen voldoen aan deze criteria. Het Spierfonds bepaalt op basis van dit advies welke vooraanvragen uitgewerkt mogen worden. We streven naar een honoreringspercentage van >40% van de uitgewerkte aanvragen.

De uitgewerkte projectaanvragen worden beoordeeld door externe reviewers op urgentie, wetenschappelijke kwaliteit en kwaliteit van de projectgroep. Daarnaast zal de Gebruikerscommissie de aanvragen beoordelen op maatschappelijke impact en in hoeverre het patiëntenperspectief is meegenomen. De beoordelingen van de referenten en de Gebruikerscommissie worden voorgelegd aan de aanvrager, die in de gelegenheid gesteld wordt hierop schriftelijk te reageren (wederhoor). Op basis van de beoordelingen en het wederhoor, geeft de beoordelingscommissie een advies over te honoreren aanvragen. Bij

gelijke geschiktheid kan het fonds een prioritering aanbrengen op basis van beleid en belang van het Spierfonds.

Deadline en budget

Binnen de subsidieronde kan een bedrag van tussen de € 100.000 en € 200.000 worden aangevraagd. Dit budget mag aanvullend zijn op bestaande financiering, het Spierfonds hoeft niet de enige of voornaamste financier van de registratie te zijn. Indien andere organisaties aan de aanvraag willen bijdragen, vernemen we dit graag.

Het aangevraagde bedrag mag naar behoefte worden verdeeld over hoofddoel en eventuele subprojecten. We moedigen aanvragers aan om zorgvuldig na te denken over de looptijd en de benodigde expertise en personele bezetting. In het aanvraagformulier vragen we de keuzes toe te lichten, zodat beoordeeld kan worden of de voorgestelde looptijd en bezetting realistisch en passend zijn.

Tijdspad

De tijdsplanning is als volgt:

Indienen vooraanvraag	5 mei 2026 om 14.00 uur
Uitnodiging uitwerken aanvraag	Eerste week juni 2026
Indienen volledige aanvraag bij Spierfonds	4 augustus 2026 om 14.00 uur
Beoordeling referenten	Augustus-september 2026
Wederhoor	Deadline half oktober 2026
Beoordelingsvergadering	Half november 2026
Besluit	Begin december 2026

Contact

Heb je vragen over deze subsidieronde? Wij denken graag mee. Neem hiervoor contact op met Simone van den Berge via onderzoek@spierfonds.nl.

Bijlage 1: Voorwaarden

Subsidieaanvragen die in de subsidieronde 'Trial & treatment ready met registraties' 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 door het ministerie van VWS [erkend expertisecentrum voor neuromusculaire ziekten](#).
- Een onderzoeker mag in deze subsidieronde maximaal één aanvraag indienen als hoofdaanvrager.
- De aanvrager is het officiële aanspreekpunt voor het Spierfonds tijdens de procedure.

Doelstelling

- Het project heeft betrekking op een (of meerdere) van de neuromusculaire ziekten die in [bijlage III](#) worden genoemd.
- Als het project betrekking heeft op een zeer zeldzame aandoening (minder dan 40 patiënten in Nederland), dient in de aanvraag gemotiveerd te worden waarom registratie voor een kleine groep nodig/wenselijk is.

Het project

- Het project 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 projectvoorstel

- De (voor)aanvraag is in helder en begrijpelijk Engels opgesteld. Een volledige aanvraag bevat ook een begrijpelijke Nederlandse publiekssamenvatting.
- Als elders financiering is aangevraagd ten behoeve van het project 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, met uitzondering van het minimum-aanstellingsniveau van 0,5 fte voor wetenschappelijk personeel.
- Na eventuele toekenning van een subsidieaanvraag zijn de Algemene Subsidievoorwaarden van het Spierfonds van toepassing.

Bijlage 11: Beoordelingsprocedure subsidieronde 'Trial & treatment ready met registraties'

Beoordeling vooraanvragen

Vooraanvragen die voldoen aan de voorwaarden zoals genoemd in [bijlage I](#) worden beoordeeld op urgentie en een eerste inschatting van de haalbaarheid. Spierziekten Centrum Nederland en patiëntenvereniging Spierziekten Nederland adviseren het Spierfonds in hoeverre de vooraanvragen voldoen aan deze criteria. Het Spierfonds bepaalt op basis van dit advies welke vooraanvragen uitgewerkt mogen worden. Hierbij streven we naar een honoreringspercentage van >40% van de uitgewerkte aanvragen. De aanvragers worden geïnformeerd of zij de aanvraag mogen uitwerken en ontvangen eventueel instructies voor het indienen van een volledige aanvraag.

Beoordeling volledige aanvragen en wederhoor

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

De subsidieaanvragen worden door de referenten op drie criteria beoordeeld:

- Wetenschappelijke kwaliteit en haalbaarheid
- Urgentie
- Kwaliteit projectgroep

De Gebruikerscommissie beoordeelt vanuit patiëntenperspectief op twee criteria:

- Relevantie voor de (toekomstige) patiënt
- Aandacht voor en betrokkenheid van patiënten

Zowel referenten als Gebruikerscommissie-leden brengen geanonimiseerd hun gemotiveerde oordeel uit op het daarvoor bestemde beoordelingsformulier. Deze geanonimiseerde beoordelingen worden aan de aanvragers voorgelegd voor wederhoor. Beoordelingen zonder inhoudelijke motivatie worden uitgesloten van de verdere procedure.

Voorwaarden referenten

Referenten zijn niet-belanghebbenden bij een projectaanvraag. De referent en de aanvrager van de aanvraag 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.

Vorbewerking en beoordelingsvergadering

De projectaanvragen met referentenrapporten en reacties van de aanvragers worden door het fonds toegewezen aan de vorberewerkers (leden van de WAR). Elke aanvraag wordt door minstens twee leden van de WAR vorberewerkt. De vorberewerking wordt uitgevoerd door WAR-leden die niet belanghebbenden zijn bij een subsidieaanvraag. De WAR werkt hierbij volgens de Gedragscode Belangenverstrengeling van het Spierfonds.

De voorbewerders maken aan de hand van de referentenbeoordelingen en het wederhoor een voorbewerking van de aan hen toegewezen subsidieaanvragen. De voorbewerders oordelen op grotere afstand dan de referenten en iken de referentencommentaren en het wederhoor van alle in behandeling zijnde aanvragen onderling. De voorbewerders horen de rol van de referenten niet over te nemen of over te doen. Het is dan ook niet de bedoeling dat nieuwe argumenten na de hoor en wederhoor door de voorbewerders worden toegevoegd. Dit gebeurt alleen als het zwaarwegende argumenten betreft.

Inhoud voorbewerking

De voorbewerking is een schriftelijke voorbereiding op de plenaire beoordelingsvergadering. De voorbewerders geven hun onafhankelijke individuele oordeel omtrent:

- de kwaliteit van ieder van de referentenrapporten
- de kwaliteit van de subsidieaanvraag, de impact en urgentie van het onderwerp en de kwaliteit van de aanvrager op grond van de hoor en wederhoor
- een eindadvies over de kwaliteit, de impact en de urgentie van de aanvraag

In de voorbewerking kan van het oordeel van de externe referenten worden afgeweken op grond van de reactie van de aanvrager. Ook kunnen sommige argumenten van een referent anders gewogen worden of bij verschillen tussen referenten het oordeel van een van de referenten zwaarder worden meegeteld. In de voorbewerking moeten afwijkingen van de referentenoordelen goed gemotiveerd worden. De voorbewerker heeft de mogelijkheid om een referent uit te sluiten wanneer de kwaliteit van het referentenrapport onvoldoende is. In dit geval zal het fonds de score van deze referent niet meerekenen en de gemiddelde referentenscore corrigeren.

De voorbewerders vullen onafhankelijk van elkaar de voorbewerkingsformulieren in. Deze worden voorafgaand aan de beoordelingsvergadering naar de afdeling Onderzoek & Innovatie van het fonds gestuurd.

Voorbereiding beoordelingsvergadering

Voor het uiteindelijke advies wordt een beoordelingscommissie samengesteld met daarin leden van de WAR en patiënten(-vertegenwoordigers), eventueel aangevuld met externe expertise. De afdeling Onderzoek & Innovatie van het fonds maakt een scorelijst van de projectaanvragen met hierin de scores van de externe referenten en de voorbewerders. Deze lijst wordt, samen met de aanvragen en beoordelingen naar alle leden van de beoordelingscommissie gestuurd ter voorbereiding op de vergadering. Op basis hiervan geeft de beoordelingscommissie een advies 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 projectaanvragen voor subsidiëring in aanmerking komen en welke zullen worden afgewezen. Bij gelijke geschiktheid kan het fonds een prioritering aanbrengen op basis van beleid en belang van het Spierfonds.

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.