

KU Leuven test ALS-medicijn

donderdag 11 februari 2010 (hvde)

GEZONDHEID — *BRUSSEL - Een experimenteel medicijn tegen de verlamrende zenuwziekte amyotrofe laterale sclerose wordt op de proef gesteld in Leuven.*

ALS, of amyotrofe laterale sclerose, is een ziekte waarbij de spierbezuwung langzaam uitvalt. Hierdoor raken de spieren verlamd, wat slachtoffers eerst in een rolstoel doet belanden en later ook hun spraak en ademhaling bemoeilijkt en uiteindelijk lamlegt. Er is geen behandeling voor de ziekte, die doorgaans fataal afloopt – al wisselt de tijd tussen diagnose en overlijden flink: van nauwelijks een jaar tot tien jaar of meer.

ALS treft naar schatting één op de twintigduizend volwassenen, meestal mensen van middelbare leeftijd, die doorgaans geen verwanten met de ziekte hebben. Soms is ALS terug te voeren op een infectie (zo kan het aidsvirus de ziekte uitlokken), maar veelal is de oorzaak onbekend. In hooguit tien procent van de gevallen zit ALS ‘in de familie’, wat op een erfelijke oorzaak wijst. Al twintig jaar is geweten dat bij 2% van de slachtoffers het probleem zit in een wijziging (mutatie) van het gen voor het enzym superoxide-dismutase. En Peter Carmeliet en collega’s van de KU Leuven en het VIB vonden tien jaar geleden nog een oorzaak: een defect in een enzym dat bloedvaten doet groeien (de vasculaire endotheelcel-groefactor, VEGF).

Een op deze vinding gebaseerd kandidaat-medicijn is nu door het Europees Geneesmiddelenbureau EMEA erkend als ‘weesgeneesmiddel’ tegen ALS. Die titel is voorbestemd voor veelbelovende stoffen tegen tamelijk zeldzame aandoeningen, die zonder extra financiële en administratieve stimulans niet op de markt zouden geraken. Weesgeneesmiddelen genieten tien jaar marktexclusiviteit en centrale registratie in de Europese Unie, en een reductie van registratiekosten.

Het Leuvense kandidaat-geneesmiddel bestaat uit de ontbrekende groefactor, die in een experimentele setting rechtstreeks in de hersenen van tweehonderd patiënten wordt gebracht, via een pompje. Dat zou het verloop van de ziekte moeten remmen, zoals in eerder onderzoek is gebleken bij ratten. Het medicijn wordt bereid door het Zweedse farmabedrijf NeuroNova. De klinische tests verlopen onder leiding van Wim Robberecht (UZ Leuven).