

Leuvens middel tegen ALS is “weesgeneesmiddel”



Belga

wo 10/02/2010 - 19:40 **Het Europees Geneesmiddelenbureau EMEA heeft een Leuvens kandidaat-medicijn tegen de zenuwziekte ALS erkend als een “weesgeneesmiddel”. Dat is een erkenning voor veelbelovende stoffen, die zonder extra stimulans niet op de markt zouden geraken.**

Het kandidaat-geneesmiddel is gebaseerd op het werk van wetenschapper Peter Carmeliet van VIB (Vlaams Instituut voor Biotechnologie) en de K.U.Leuven. Carmeliet ontdekte dat een tekort aan een bepaald eiwit, VEGF, bij muizen symptomen van ALS veroorzaakt.

Het huidig onderzoek spitst zich toe op het rechtstreeks toedienen van VEGF in de hersenen van patiënten, via een pompje. Dat zou het verloop van de ziekte moeten afremmen, iets wat in eerder VIB-onderzoek is waargenomen bij proefdieren.

Exclusieve toegang tot de markt

Met de regeling in verband met weesgeneesmiddelen wil de Europese Unie stimuleren dat ook voor zeldzamere ziekten geneesmiddelen worden ontwikkeld. Zonder die steun is de economische haalbaarheid van nieuwe geneesmiddelen vaak te onzeker.

De erkenning als weesgeneesmiddel levert de producent 10 jaar marktexclusiviteit op en een aantal andere voordelen. Ook kan het onderzoek gebeuren met minder patiënten. Zeker bij ziektes die erg zeldzaam zijn, kan dat de ontwikkeling van een geneesmiddel gevoelig versnellen.

Lange weg tot geneesmiddel

Alhoewel de erkenning als weesgeneesmiddel het onderzoek in een stroomversnelling zal brengen, blijft er nog een lange weg af te leggen voor VEGF eventueel een geregistreerd geneesmiddel zal zijn.

Het huidige onderzoek bij een groep van 200 patiënten is er op gericht om de veiligheid van het middel na te gaan. Gereguleerde studies zullen dan nog moeten aantonen dat VEGF effectief werkt om de ontwikkeling van ALS te remmen. Iedereen kan met vragen over dit medisch onderzoek terecht op patienteninfo@vib.be.

Ongeneeslijke en verlamme ziekte

ALS (Amyotrofische Laterale Sclerose) is een ongeneeslijke verlamme aandoening, met astrofysicus Stephen Hawking (foto) als één van de beroemdste patiënten. In België lijden ongeveer 800 tot 1.000 mensen aan de ziekte. Jaarlijks overlijden er meer dan 200 patiënten en komen er minstens evenveel bij.

Bij patiënten treedt er aftakeling op van de zenuwbanen die naar de spieren lopen. Daardoor verliezen de patiënten de controle over hun spieren en geraken ze volledig verlamd, terwijl ze blijven beschikken over hun mentale vermogens.