

## ALS-medicijn tofersen wordt ter beschikking gesteld van bepaalde patiënten



© Shutterstock

**Het medicijn tofersen mag ter beschikking gesteld worden van bepaalde ALS-patiënten. Het medicijn heeft daarvoor een goedkeuring gekregen van het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG), zo heeft de ALS Liga maandagavond bekendgemaakt. Tofersen is het eerste ontwikkelde medicijn dat het verloop van ALS, bij een bepaalde groep patiënten, heeft weten afremmen.**

mtm  
Bron: BELGA

Gisteren om 21:03



Wereldwijd lijden ongeveer 400.000 mensen aan de zenuw-spierziekte ALS. ALS is een dodelijke ziekte, die gekenmerkt wordt door een geleidelijke achteruitgang van de motorische zenuwcellen. Na verloop van tijd werken de spieren van een patiënt niet meer zoals het hoort. Patiënten ondervinden spierzwakte, verlamingsverschijnselen en moeilijkheden met kauwen, slikken en spreken.

Meestal is de ziekte niet erfelijk, maar bij ongeveer 2 procent van de patiënten wordt ze veroorzaakt door een mutatie in het SOD1-gen. Die genetische afwijking leidt tot een toxische opstapeling van SOD1-eiwitten, die de motorische zenuwcellen doen afsterven.

Enkele jaren geleden ontwikkelden onderzoekers een nieuwe behandeling op basis van gentherapie voor de groep patiënten met een SOD1-mutatie. Het geneesmiddel tofersen bindt op het genetisch materiaal en blokkeert zo de aanmaak van het schadelijke SOD1-eiwit. De resultaten bij de patiënten waren soms spectaculair: bij sommigen stopte de ziekteprogressie volledig en werd zelfs spierkracht herwonnen. Het is de eerste keer dat is aangetoond kunnen worden dat ALS in principe een behandelbare ziekte is.

Tofersen is evenwel nog niet goedgekeurd door het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA) om op de markt te brengen. In afwachting daarvan heeft producent Biogen wel een vroegtijdige toegang verleend. Recentelijk heeft het FAGG via de 'Compassionate Use'-procedure haar goedkeuring verleend. Dat betekent dat patiënten die in aanmerking komen, het medicijn gratis kunnen verkrijgen.

"We zijn heel blij", zegt professor Philip Van Damme, hoofd van het UZ Leuven neuromusculair referentiecentrum. "Het is een heel beloftevol medicijn. Omdat de studies afgesloten zijn, konden patiënten niet meer aansluiten om het medicijn te krijgen. Deze 'Compassionate Use' is heel mooi om de overgangsfase te overbruggen, totdat het medicijn op de markt kan gebracht worden."

Patiënten die in aanmerking komen, een vijftiental personen in België, zijn gecontacteerd. In het neuromusculair referentiecentrum in Leuven kunnen ze tofersen maandelijks toegediend krijgen. Dat gebeurt via een ruggenprik. Ondertussen wordt in studies naar nieuwe manieren gezocht om tofersen toe te dienen, bijvoorbeeld via een eenmalige injectie.

Meer informatie over ALS en tofersen is te vinden op [www.als.be](https://www.als.be/) (<https://www.als.be/>).