



Het zijn roerige tijden voor het Duchenneveld. Deze week werd aangekondigd dat met de ontwikkeling van een aantal potentiële medicijnen voor Duchenne wordt gestopt. Dit zijn de middelen voor exon skipping die aanvankelijk door Prosensa, een Nederlands bedrijf, werden ontwikkeld. In januari 2015 nam het Amerikaanse bedrijf BioMarin Prosensa over. Het onderzoek naar deze geneesmiddelen vond vanaf het begin plaats in Leuven en later ook in Leiden (LUMC) en Nijmegen (RadboudUMC). Hieronder de informatie die we van het bedrijf ontvingen voor Duchenne ouders.

BioMarin Update voor de Duchenne families: 1 juni 2016

Wij willen graag de Duchenne families informeren in het kader van de recente aankondiging van BioMarin in verband met de goedkeuring voor markttoelating bij de EMA.

BioMarin gaat stoppen met de verdere klinische ontwikkeling van drisapersen en ook van de andere drie andere producten die in klinische studies worden getest: BMN 044, BMN 045 en BMN 053

Waarom hebben we deze beslissing genomen?

- EMA is de regulator die beslist of geneesmiddelen in Europa worden toegelaten, vergelijkbaar met de FDA in de Verenigde Staten.
- De rol van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP), als onderdeel van de EMA, is om te beoordelen of de voordelen van nieuwe therapieën in verhouding staan tot de risico's die het gebruik met zich meebrengen.
- Onze discussie met de CHMP maakte duidelijk dat zij voornemens waren een negatief advies uit te brengen, wat betekent dat we geen goedkeuring zouden ontvangen.
- Wij zijn zeer teleurgesteld dat drisapersen niet voldeed aan de wettelijke normen in de VS of Europa.
- Wij zijn van mening dat we op dezelfde problemen met BMN 044, 045 en 053 zullen stuiten en om deze reden hebben we ook deze programma stopgezet.

Wat zal de impact zijn op de patiënten die deze producten in klinische studies krijgen toegediend?

Terwijl we de Duchenne klinische ontwikkelingsprogramma's afbouwen, is BioMarin van plan om in samenwerking met artsen, patiëntenverenigingen en regelgevende instanties een oplossing te vinden voor patiënten die momenteel behandeld worden met drisapersen, BMN 044, BMN 045 en BMN 053.

In deze fase kunnen klinische trial sites toegang blijven krijgen tot het product vanuit BioMarin. De beslissing over de vraag om al dan niet door te gaan met de behandeling zal worden gemaakt door de arts die het onderzoek leidde samen met de patiënt / familie en vereist ook toestemming van de lokale ethische commissies / IRBs en de nationale bevoegde autoriteiten. Wanneer het transitieplan is voltooid, zullen we in staat zijn om meer informatie te verstrekken. Onze bedoeling is om producten ter beschikking te stellen terwijl een plan wordt gemaakt.

Hoe zit het met de tweede generatie BioMarin producten in ontwikkeling voor Duchenne?

Tweede generatie antisense oligonucleotiden zijn in de vroege fase van onderzoek, een proces dat jaren kan duren om potentiële kandidaten te leveren die geschikt zijn voor klinische studies.

Volgende stappen:

Uw arts / onderzoeker en het studieteam zijn nog steeds de beste bron van ondersteuning en informatie voor u en uw gezin. U kunt contact met hen opnemen als u nog vragen of opmerkingen heeft. BioMarin blijft in nauw contact met alle onderzoekers en onderzoekteams en zal updates geven als er nieuwe informatie beschikbaar komt. We zullen ook zorgen voor verdere updates aan de patiënt gemeenschap via patiëntenorganisaties en belangengroepen zodra aanvullende specifieke informatie beschikbaar is.

Nogmaals, BioMarin is diep teleurgesteld in de uitkomst, maar spreekt haar oprechte waardering uit voor de patiënten, families, onderzoekers en belangengroepen die zo veel hebben bijgedragen aan de vooruitgang van DMD onderzoek door de inspanningen voor de ontwikkeling van behandelingen voor Duchenne.

Lees hier ook het [persbericht](#) van BioMarin.