



- P E R S B E R I C H T -

3 oktober 2017

Galenus Geneesmiddelenprijs 2017 voor behandeling van ernstige gecombineerde immuunstoornis (SCID)

De winnaar van de Galenus Geneesmiddelenprijs 2017 is **Strimvelis[®]** van GlaxoSmithKline, een middel geregistreerd voor ernstige gecombineerde immuunstoornis (SCID). De prijs, een fraaie gouden medaille, is 3 oktober uitgereikt door prof. dr. Martine Smit. De Galenus Researchprijs ging naar dr. Mario van der Stelt voor zijn onderzoek op het gebied van endocannabinoïden en de vertaling richting therapeutische toepassingen op de oncologie en neurodegeneratie.

De uitreikingen vonden plaats tijdens de FIGON/Dutch Medicines Days 2017, in De Reehorst te Ede. In dit passende decor was om de uitreikingen een prikkelend minisymposium georganiseerd over ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen. Juryvoorzitter was prof. dr. Jan Danser, hoogleraar Farmacologie aan het Erasmus MC. Uit tien nieuwe geneesmiddelen koos de jury als meest betekenisvolle innovatie **Strimvelis[®]**, ofwel '*autologe CD34+ cellen getransduceerd voor menselijk adenosinedeaminase*'.

100% overleving

Strimvelis is bedoeld voor de behandeling van patiënten met ADA-SCID, voor wie geen geschikte verwante stamceldonor beschikbaar is. Zulke donoren (vaak broers en zussen) vind je maar in 1 op de 5 gevallen. Zonder behandeling leidt deze aandoening meestal binnen 1 jaar na de geboorte tot overlijden. Tot voor kort werd bij dit soort patiënten het ADA-enzym kunstmatig toegediend met kosten die opliepen tot 1 miljoen per patiënt per jaar. Strimvelis is de eerste geregistreerde ex-vivo gentherapie, gebruikmakend van lichaamseigen stamcellen. De klinische studies bij ADA-SCID-patiënten laten zien dat de overleving 100% is, met op dit moment een follow-up tot 15 jaar. De Jury van de Galenus Geneesmiddelenprijs spreekt haar bewondering uit voor deze zeer innovatieve therapie, leidend een optimale 'personalized medicine' approach, die ook nog eens levenslang aanhoudt. Voor de patiënten met deze ziekte is dit een fantastische ontwikkeling, die hen in staat stelt normaal te overleven waar dit vroeger onmogelijk was.

Genomineerden

Uit de tien inzendingen koos de jury eerst drie genomineerden: **Opdivo[®]** (*nivolumab*) van Bristol-Myers Squibb B.V. geregistreerd voor niet-kleincellig longcarcinoom (NSCLC); **Strimvelis[®]** (*autologe CD34+ cellen getransduceerd voor menselijk adenosinedeaminase*) van GlaxoSmithKline BV met als indicatie ernstige gecombineerde immuunstoornis (SCID) en **Translarna[®]** (*ataluren*) van PTC Therapeutics voor de behandeling van spierdystrofie van Duchenne, waarna Strimvelis werd uitgeroepen als winnaar van de Galenus Geneesmiddelenprijs 2017.

De overige kandidaten waren: **Darzalex[®]** (*daratumumab*) van Janssen Cilag - acute lymfoblastenleukemie (ALL); **Entresto[®]** (*sacubitril/valsartan*) van Novartis Pharma B.V. - chronisch hartfalen; **Ibrance[®]** (*palbociclib*) van Pfizer B.V. - gevorderde of gemetastaseerde mammacarcinoom; **Idelvion[®]** (*albutrepenonacog alfa*) van de firma CSL



Behring bv - hemofilie B; **Imlygic**[®] (valimogene vaherparepvec) van Amgen B.V. - maligne melanoom van de huid en **Ninlaro**[®] (*ixazomib*) van Takeda Nederland B.V. - multipel myeloom en **Venclyxto** (*venetoclax*) van AbbVie B.V. - Chronische Lymfatische Leukemie (CLL).

Galenus Researchprijs 2017

Winnaar van de Galenus Researchprijs 2017 is **dr. Mario van der Stelt**, werkzaam bij afdeling Moleculaire Fysiologie, Universiteit Leiden. Hij kreeg de prijs, een gouden medaille en een bedrag van € 5.000, uit handen van prof. dr. Albert J.R. Heck hoogleraar Universiteit Utrecht, KNAW-lid en tevens Scientific Director van zowel het Netherlands Proteomic Centre en Utrecht Institute for Pharmaceutical Sciences. Van der Stelt, zo staat in het juryrapport is in staat om zijn kennis rondom de endocannabinoïden te vertalen richting therapeutische toepassingen, waarbij hij zich op dit moment richt op de oncologie en neurodegeneratie. Hij is volgens de jury 'een groot research talent in de Nederlandse farmaceutische wetenschappen, die in de komende jaren een belangrijke bijdrage zal leveren aan farmacochemisch onderzoek.

Over de Galenusprijzen

De Galenusprijzen, internationaal bekend als Prix Galien, werden in Nederland voor het eerst in 1993 uitgereikt en zijn sinds 2010 onder auspiciën van de Stichting Galenusprijs Nederland. Sponsors zijn onder andere Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen, ZonMw en Springer Media. De onafhankelijke jury bestaat uit wetenschappers en bestuurders van openbare lichamen in de medische sector.

Niet voor publicatie:

Voor meer informatie:

Stichting Galenusprijs Nederland

p/a Philip de l'Orme

Koningin Emmalaan 35

1191 BL Ouderkerk aan de Amstel

m +31 (0) 654 370 731

e-mail: philip.delorme@galenusprijs.nl

www.galenusprijs.nl