



## **Prix Galien Pharmaceutical Award 2017** **(Galenus Geneesmiddelenprijs)**

### ***Juryrapport voor Strimvelis<sup>®</sup>, winnaar van de prijs***

Strimvelis<sup>®</sup> betreft een autologe, met CD34+ verrijkte celfractie die CD34+-cellen bevat die getransduceerd zijn met een retrovirale vector die codeert voor de menselijke adenosinedeaminase-cDNA sequentie uit humane hematopoëtische stam-/voorloper- (CD34+-) cellen.

Het wordt in Europa op de markt gebracht door GlaxoSmithKline en is ontwikkeld door het San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy in Italië.

Strimvelis is bedoeld voor de behandeling van patiënten met ADA-SCID, voor wie geen geschikte verwante stamceldonor die HLA-compatibel is, beschikbaar is. Zulke donoren (vaak broers en zussen) vind je maar in 1 op de 5 gevallen. ADA-SCID is een zeer ernstige immuunstoornis (SCID= **S**evere **C**ombined **I**mmunodeficiency **S**ndrome) veroorzaakt door een defect enzym adenosine deaminase (ADA). ADA is betrokken bij DNA-metabolisme en als zodanig onmisbaar.

Zonder behandeling leidt deze aandoening via infecties en diverse niet-immunologische afwijkingen meestal binnen 1 jaar na de geboorte tot overlijden. Elke infectie kan fataal zijn, en patiënten dienen in totale fysieke isolatie (een steriele kamer, met steriel speelgoed) te leven. Gelukkig komt het maar zeer zelden voor: iedere 2-3 jaar is er in Nederland 1 patiënt.

Tot voor kort werd bij dit soort patiënten het ADA-enzym kunstmatig toegediend (via intramusculaire injecties 1-2x per week), met kosten die opliepen tot 1 miljoen per patiënt per jaar. Helaas ging dit ook vaak gepaard met de ontwikkeling van antistoffen tegen ADA, waardoor de effectiviteit afnam.

Strimvelis is de eerste geregistreerde ex-vivo genterapie, 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 verwachting is dat de effecten van Strimvelis levenslang aanhouden. Het aantal infecties daalt sterk en de immuunfunctie wordt hersteld.

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.

*Prof. dr. Jan Danser*  
*Juryvoorzitter Nederlandse Galenusprijzen*  
*Namens de jury van de Nederlandse Galenusprijzen*

3 oktober 2017