

SarcoScoop

(on)zichtbaar

- Uitzicht op behandeling dunne vezel neuropathie
- SBN en Nivel maken effecten sarcoïdose zichtbaar
- Promotieonderzoek: Het belang van fysieke training

Uitzicht op behandeling van dunne vezel neuropathie

ARA 290 in Amerika erkend als weesgeneesmiddel

Jules Prast

ARA 290, een experimenteel medicijn tegen dunne vezel neuropathie bij sarcoïdose, is opnieuw een stapje dichterbij toelating tot de markt. De Amerikaanse gezondheidstoezichthouder FDA heeft het medicijn de status toegekend van weesgeneesmiddel. Araim Pharmaceuticals, het bedrijf achter ARA 290, heeft het nieuws begin juli in een persbericht bekendgemaakt.

Een weesgeneesmiddel is een medicijn dat wordt ontwikkeld voor zeldzame ziektes. Volgens de criteria van de Wereldgezondheidsorganisatie is sarcoïdose een zeldzame ziekte. Afhankelijk van de geldende wetgeving in een land kan de status van weesgeneesmiddel het ontwikkelingsproces van zo'n medicijn bespoedigen.

In de Verenigde Staten kan een groter deel van de onderzoekskosten van de belasting worden afgetrokken en geniet het middel tijdens de ontwikkelfase het recht van exclusiviteit op de markt. Zo worden durfinvesteerders en farmaceuten aangemoedigd te werken aan medicijnen waarvoor de doelgroep klein is. De status van weesgeneesmiddel betekent niet dat het medicijn al op de markt mag worden gebracht.

Chronische vermoeidheid

De claim waarop ARA 290 stoelt, is dat het bij sarcoïdose niet alleen neuropathische pijn vermindert, maar ook aangetast weefsel van dunne zenuwvezels herstelt. Daardoor zou verbetering kunnen

optreden van autonome symptomen, zoals droge ogen, hartkloppingen en duizeligheid. Bovendien geeft onderzoek met proefpersonen in verschillende landen voorzichtige hoop dat ARA 290 in staat is chronische vermoeidheid te doen afnemen.

Naar verwachting kan het tot 2020 duren voor het op de markt komt

Eerder ontving het medicijn van de FDA een gedeeltelijke erkenning als weesgeneesmiddel, alleen als pijn-

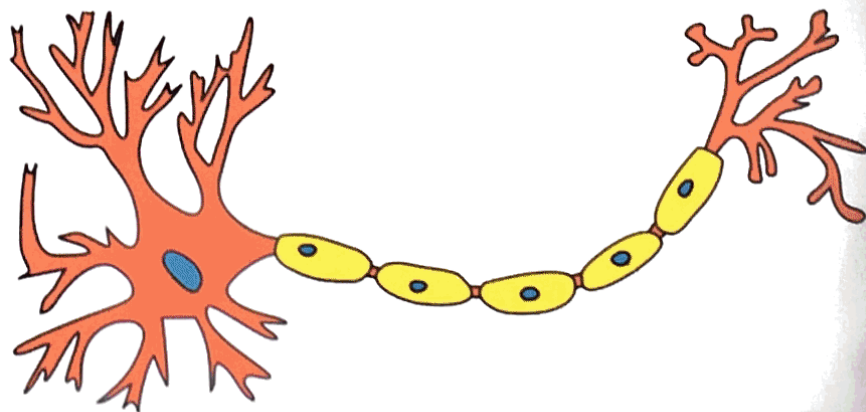
stillert. De toekenning van een volledige status nu geeft aan dat er naar het oordeel van de toezichthouder meer wetenschappelijk onderzoek beschikbaar is dat de andere claims

over de werking ervan ondersteunt. De Europese evenknie van de FDA, de EMA in Londen, had ARA 290 voor de Europese Unie al de status van weesgeneesmiddel toegekend.

In Nederland getest

ARA 290 wordt in verschillende landen in klinische studies getest op sarcoïdosepatiënten. In Nederland is een aantal proeven gedaan door arts-onderzoekers van het Leids Universitair Medisch Centrum. In 2014 gaf de Amerikaanse biochemicus dr. Tony Cerami, algemeen directeur van Araim en uitvinder van het medicijn, een interview aan SarcoScoop.

Daarin vertelde hij dat de keuze onder meer op Nederland was

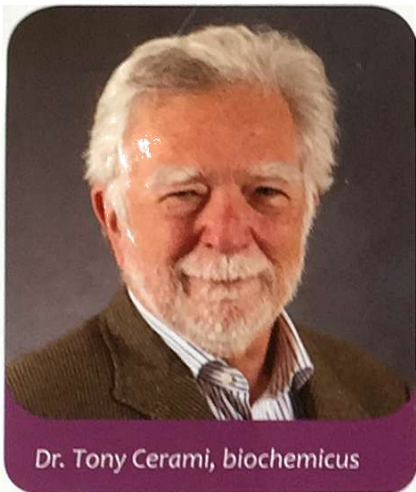


Onderzoek laat bij 15% van de proefpersonen een aangroei van dunne zenuwvezels zien.

gevallen omdat dunne vezel neuropathie er onder sarcoïdosepatiënten duidelijk leeft sinds het baanbrekende proefschrift uit 2005 van dr. Elske Hoitsma, thans neuroloog in het Alrijne ziekenhuis in Leiden. Hoitsma toonde aan dat bij zestig tot zeventig procent van patiënten met sarcoïdose sprake is van dunne vezel neuropathie.

Goedkoper dan biologische medicijnen

Cerami heeft de afgelopen dertig jaar zelf grensverleggend werk verricht met zijn onderzoek naar de werking van het immuunsysteem. Hij heeft aan de wieg gestaan van



Dr. Tony Cerami, biochemicus

de ontwikkeling van biologische medicijnen die ingrijpen in de werking van het immuunsysteem en ontstekingsreacties afremmen.

ARA 290 is een ander type middel. Onderzoek naar gebruik ervan toont bij zo'n vijftien procent van de proefpersonen een aangroei van dunne zenuwvezels. Dit correleert met een verbeterde score van deze groep bij de zes minuten wandeltest. Deze patiënten geven ook aan dat hun pijn en autonome symptomen afnemen en hun conditie verbetert.

"De resultaten laten zien dat het wellicht mogelijk is dat ARA 290 bij sommige van de mensen met dunne

vezel neuropathie iets doet aan hun chronische vermoeidheid," legde Cerami uit in het interview met SarcoScoop.

"We moeten voor ARA 290 uitzoeken wat per patiënt en symptoom de optimale gebruiksduur en dosering zijn, maar er zijn indicaties dat het volstaat het middel afhankelijk van de symptomen eenmalig, dus niet chronisch, te gebruiken. Dit, en het feit dat ARA 290 een chemisch middel is, maakt het veel goedkoper dan de huidige generatie biologische medicijnen," aldus Cerami.

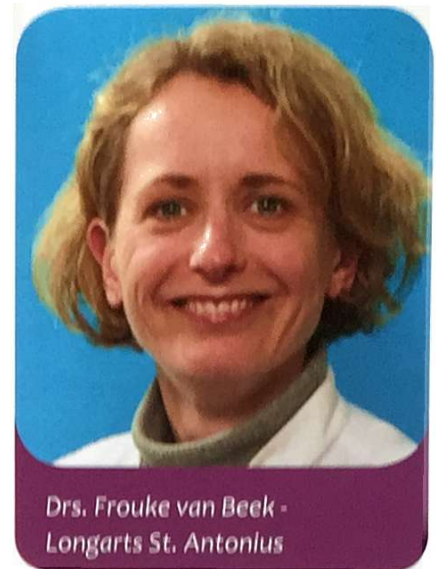
Omwenteling in behandeling

ARA 290 is inmiddels ook getest in de Cleveland Clinic, een ziekenhuis in de staat Ohio. In het persbericht van Araim noemt longarts dr. Dan Culver van de Cleveland Clinic het "een medicijn dat een omwenteling teweeg zou kunnen brengen in de behandeling van sarcoïdose. De ziekte wordt nu ondergewaardeerd en onderbehandeld," zegt hij.

"Sarcoïdose heeft een substantiële uitwerking op mensen in de bloei van hun leven en beïnvloedt hun levenskwaliteit en productiviteit gedurende tientallen jaren. ARA 290 heeft het vermogen zich te ontwikkelen tot een belangrijke therapie die het ziekteverloop kan veranderen voor patiënten met sarcoïdose en andere ziektebeelden die worden gekenmerkt door chronische ontstekingsreacties en blijvende weefselschade," aldus Culver in zijn toelichting.

Invaliderende aandoening

Ook het grootste expertisecentrum voor sarcoïdose in Nederland in het St. Antonius Ziekenhuis in Nieuwegein is betrokken bij het onderzoek naar ARA 290. "Dunne



Drs. Frouke van Beek -
Longarts St. Antonius

vezel neuropathie is vaak een invaliderende aandoening bij sarcoïdose, die zeer moeilijk medicamenteus te beïnvloeden is. We zijn dan ook erg verheugd dat we met de Ameri-

kaanse erkenning van ARA 290 als weesgeneesmiddel ook in Europa uitzicht krijgen op de mogelijkheid om patiënten met dunne vezel neu-

ropathie hiermee te behandelen. Dit is een goed voorbeeld van hoe belangrijk multicenter wetenschappelijk onderzoek naar nieuwe middelen kan zijn voor de toekomst van sarcoïdosepatiënten," zegt longarts drs. Frouke van Beek van het St. Antonius Ziekenhuis in een reactie.

Naar verwachting kan het wel tot 2020 duren voordat ARA 290 als medicijn tot de markt wordt toegelaten.

Dit geeft het belang aan van multicenter wetenschappelijk onderzoek

Meer weten of reageren?

Jules schrijft tegenwoordig ook een blog op onze site www.sarcoïdose.nl/blogs.