

Hoop voor ALS-patiënten: nieuwe therapie doet schade aan motorische zenuwcellen afnemen

Na jaren van telkens weer negatieve klinische onderzoeksresultaten, is er hoop voor ALS-patiënten. In het prestigieuze vakblad 'The New England Journal of Medicine' verschenen gisteren de resultaten van een studie, waaruit blijkt dat een nieuwe therapie de schade aan motorische zenuwcellen doet afnemen en dat patiënten een stabilisatie in hun ziekteverloop vertonen.

Steven Peeters 22-09-22, 10:48 Laatste update: 10:55



0 REACTIES

Amyotrofische Laterale Sclerose of ALS won aan naambekendheid in 2014 dankzij de 'ice bucket challenge'. Het is een dodelijke zenuwspierziekte waarbij de motorneuronen afsterven. De ziekte legt je lichaam geleidelijk aan volledig lam vanaf de nek. Je kan niet meer bewegen, spreken, slikken en uiteindelijk niet meer ademen, terwijl geestelijke en zintuiglijke vermogens intact blijven. Patiënten sterven gemiddeld 33 maanden na de diagnose, zonder hoop op genezing.

Lees ook



[1 op de 2.000 mensen lijdt aan lupus: "De ziekte heb je voor het leven, maar veelbelovende medicatie is op komst"](#)

Maar vandaag is er een sprankeltje hoop. Voor het eerst konden ALS-patiënten met een SOD1-mutatie succesvol behandeld worden, zo blijkt uit een nieuwe internationale studie waaraan UZ Leuven heeft meegewerkt. Het geneesmiddel

tofersen blijkt de ziekte tegen te gaan bij deze patiënten. Zo is aangetoond dat ALS in principe een behandelbare ziekte is.

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 respons die we zagen was soms spectaculair. Bij sommigen stopte de ziekteprogressie volledig. Ze herwonnen zelfs wat spierkracht

Philip Van Damme (UZ Leuven), neuroloog en
ALS-expert

De eerste klinische studies bij een klein aantal patiënten waren al beloftevol, maar onlangs werden de resultaten van een grotere fase 3-studie bekendgemaakt. Meer dan honderd patiënten wereldwijd namen deel aan de studie. Ze kregen ofwel de behandeling met tofersen, ofwel een placebo als controle, en werden een jaar lang opgevolgd.

Erfelijk

“De respons die we zagen was soms spectaculair, vooral bij patiënten die vroeg in het ziekteverloop konden starten met het geneesmiddel”, vertelt professor Philip Van Damme (UZ Leuven), neuroloog en ALS-expert. “Bij sommigen stopte de ziekteprogressie volledig. Ze herwonnen zelfs wat spierkracht. Patiënten bij wie de behandeling later gestart werd, vertoonden een vertraging van het verdere ziekteverloop.”

Wereldwijd leiden ongeveer 400.000 mensen aan de zenuw-spierziekte ALS. De ziekte treft ongeveer 6 tot 7 mensen op 100.000 en komt overal ter wereld voor. De meeste patiënten krijgen ALS rond hun 60 jaar, maar er zijn ook jongvolwassenen met ALS. Mannen worden iets frequenter getroffen dan vrouwen. In België lijden continu 1.000 mensen aan ALS. Jaarlijks overlijden er meer dan 200 patiënten en komen er minstens evenveel bij.

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.

Meer info: [ALS Liga België](#)