

Vlaamse prof ontdekt medicijn tegen ziekte Stephen Hawking

De Leuvense professor Peter Carmeliet kan geschiedenis schrijven. Het veelbelovende medicijn waaraan hij werkt, houdt patiënten die aan de zeldzame verlamingsziekte ALS lijden mogelijk langer in leven. **FRANS DE SMET**

De spierziekte ALS, voluit amyotrofische laterale sclerose en ook bekend als de ziekte van Lou Gehrig, is een ongeneeslijke verlamming: de ziekte takelt de zenuwbanen naar de spieren af waardoor de patiënt volledig verlamd raakt. De patiënt beschikt wel nog over zijn volledige mentale vermogen. In België lijden zo'n achthonderd tot duizend mensen aan ALS. Daarvan overlijden er jaarlijks meer dan tweehonderd en komen er minstens evenveel bij.

Onder meer de veelvuldig bekroonde professor Peter Carmeliet (KU Leuven) doet onderzoek naar een remedie voor ALS. Samen met het Vlaams Instituut voor Biotechnologie (VIB) ontdekte hij enkele jaren geleden dat bij muizen een tekort aan het natuurlijke eiwit VEGF symptomen van ALS opwekt. Verder VIB-onderzoek leerde dat het rechtstreeks toedienen van de groeifactor VEGF aan de hersenen van proefdieren de ziekte gevoelig afremt. 'Met zowat dertig procent langer overleven tot gevolg', zegt Peter Carmeliet.

Weesgeneesmiddel

De Zweedse biofirma NeuroNova houdt zich met de ontwikkeling van een ALS-medicijn, gebaseerd op VEGF, bezig. Met succes, het bedrijf kon al een middel samenstellen dat de voorlopige naam sNN0029 kreeg. Uit erkentelijkheid voor

het pionierswerk van Peter Carmeliet werden de klinische proeven aan de KU Leuven toevertrouwd, meerbepaald aan VIB-collega Wim Robberecht. 'De allereerste resultaten zijn zeer beloftevol', licht Carmeliet toe. 'We zien geen neveneffecten. We kunnen nu overschakelen naar een grotere groep van zo'n tweehonderd proefpersonen. Toch kunnen we nog geen uitspraken doen over het echte effect van dit middel: resultaten van proeven op dieren en mensen kunnen sterk verschillen. In deze klinische fase komt het erop aan te bepalen wat een veilige dosis is voor proefpersonen. Maar de proeven verlopen geheel volgens verwachting.'

'Niet voor Hawking'

Na die klinische fase duurt het vaak nog ettelijke jaren voor uiteindelijk een getest medicijn in de apotheken ligt. Het Europese geneesmiddelenbureau EMEA hoopt die termijn flink te verkorten door het medicijn van Carmeliet te erkennen als 'weesgeneesmiddel'. Met die erkenning zijn minder proefpersonen nodig om onderzoek naar het medicijn te doen. Bij een zeldzame ziekte als ALS, waarbij moeilijk proefpersonen te vinden zijn, kan dat forse tijdswinst betekenen. Zo'n erkenning levert ook flink wat financiële steun op: de fabrikant krijgt tien jaar lang een marktexclusiviteit in



©bdw

ALS-PATIËNTEN BLIJVEN NA HET STELLEN VAN DE DIAGNOSE DOORGAANS 3 TOT 5 JAAR IN LEVEN. WAAROM HAWKING ZO LANG OVERLEEFT, WETEN WE NIET

Peter Carmeliet, KU Leuven



Europa, hij geniet van verlaagde registratiekosten en de administratieve rompslomp wordt kleiner.

Een van de bekendste ALS-patiënten ter wereld is Stephen Hawking (68). De beroemde astrofysicus kreeg op zijn 21ste met ALS te kampen. Hij is nu zo goed als helemaal verlamd. Zal Hawking baat hebben bij het geneesmiddel van Carmeliet? 'Neen', antwoordt Peter Carmeliet. 'Hawking is een atypische patiënt. Doorgaans blijven patiënten na het stellen van de diagnose maar drie tot vijf jaar in leven. We weten niet waarom Hawking zo lang overleeft. Maar bij hem zijn al zoveel zenuwcellen afgestorven dat er helaas nog weinig af te remmen valt. Dat geldt jammer genoeg ook voor



Stephen Hawking zelf kan niet gered worden met het medicijn: 'Bij hem zijn al te veel zenuwcellen afgestorven', luidt het. ©ap

de meeste van onze patiënten: iemand die met bepaalde symptomen naar een neuroloog gaat, is vaak al veel zenuwcellen verloren. Wat dood is, kunnen we

niet tot leven wekken. Met ons geneesmiddel komt het erop aan de ziekte in een vroeg stadium te ontdekken om de overlevende cellen sterker te maken.'