



GALENUS GENEESMIDDELENPRIJS 2014

Juryrapport voor de Galenus Geneesmiddelenprijs 2014

Kalydeco is een nieuw geneesmiddel met als stofnaam ivacaftor. Het betreft een middel tegen de zeldzame ziekte Cystic Fibrosis, in Nederland beter bekend onder de naam taaislijmziekte. Dit is een erfelijke chronisch invaliderende ziekte die vooral de longen en de alvleesklier aantast en gepaard gaat met een beperkte levensverwachting. De basis van de ziekte is een mutatie in een transportmolecuul van chloride-ionen waardoor het te vormen slijm veel taaier is dan normaal. Dat chloorkanaal laat te weinig chloormoleculen door. De slijmophoping die door dit taaie slijm ontstaat, tasten de functie van de betreffende organen sterk aan. Er bestaan verschillende mutaties van dit kanaal. Die leiden uiteindelijk allemaal tot dezelfde ziekteverschijnselen, soms snel soms langzaam.

De kracht van het geneesmiddel Kalydeco is dat het aangrijpt op het gemuteerde en disfunctionerende chloorkanaal. Het middel Kalydeco zorgt ervoor dat het chloorkanaal meer moleculen doorlaat waardoor het slijm minder taaie is. Vooral de longen en de luchtwegen profiteren hiervan. Het werkt alleen bij een bepaalde specifieke mutatie van het chloorkanaal. Helaas is het middel dus niet geschikt voor alle patiënten met taaislijmziekte.

Tot nu toe kon Cystic Fibrosis alleen symptomatisch behandeld worden. Met Kalydeco is er eindelijk een doorbraak waardoor de ziekte wordt aangepakt bij de oorzaak. Het is slechts een eerste stap, maar wel een belangrijke. De fase III registratiestudies lieten een duidelijke verbetering zien van patiënten op het gebied van de longfunctie en het lichaamsgewicht. Dat zijn twee voorspellende indicatoren voor een verbeterde morbiditeit en mortaliteit.

De jury had ook dit jaar weer een uitgesproken moeilijke taak, om de eenvoudige reden dat er vele interessante nieuwe geneesmiddelen werden aangeboden. De keuze van de juryleden is gevallen op Kalydeco omdat zij onder de indruk waren van het rationele concept dat ten grondslag ligt aan de ontwikkeling van dit middel. Door de combinatie van mechanism-based en evidence-based medicine is dit geneesmiddel een prachtig voorbeeld van Personalized Medicine. De jury hoopt van harte dat ook voor de andere mutaties van het chloorkanaal snel werkzame therapieën worden gevonden zodat alle kinderen met taaislijmziekte, kunnen profiteren van deze vooruitgang in de gezondheidszorg. Wij feliciteren het bedrijf Vertex van harte met de ontvangst van de Galenus Geneesmiddelenprijs 2014.

Prof. Dr. Paul Smits, juryvoorzitter Nederlandse Galenusprijzen, namens de jury van de Nederlandse Galenusprijzen

5 oktober 2014