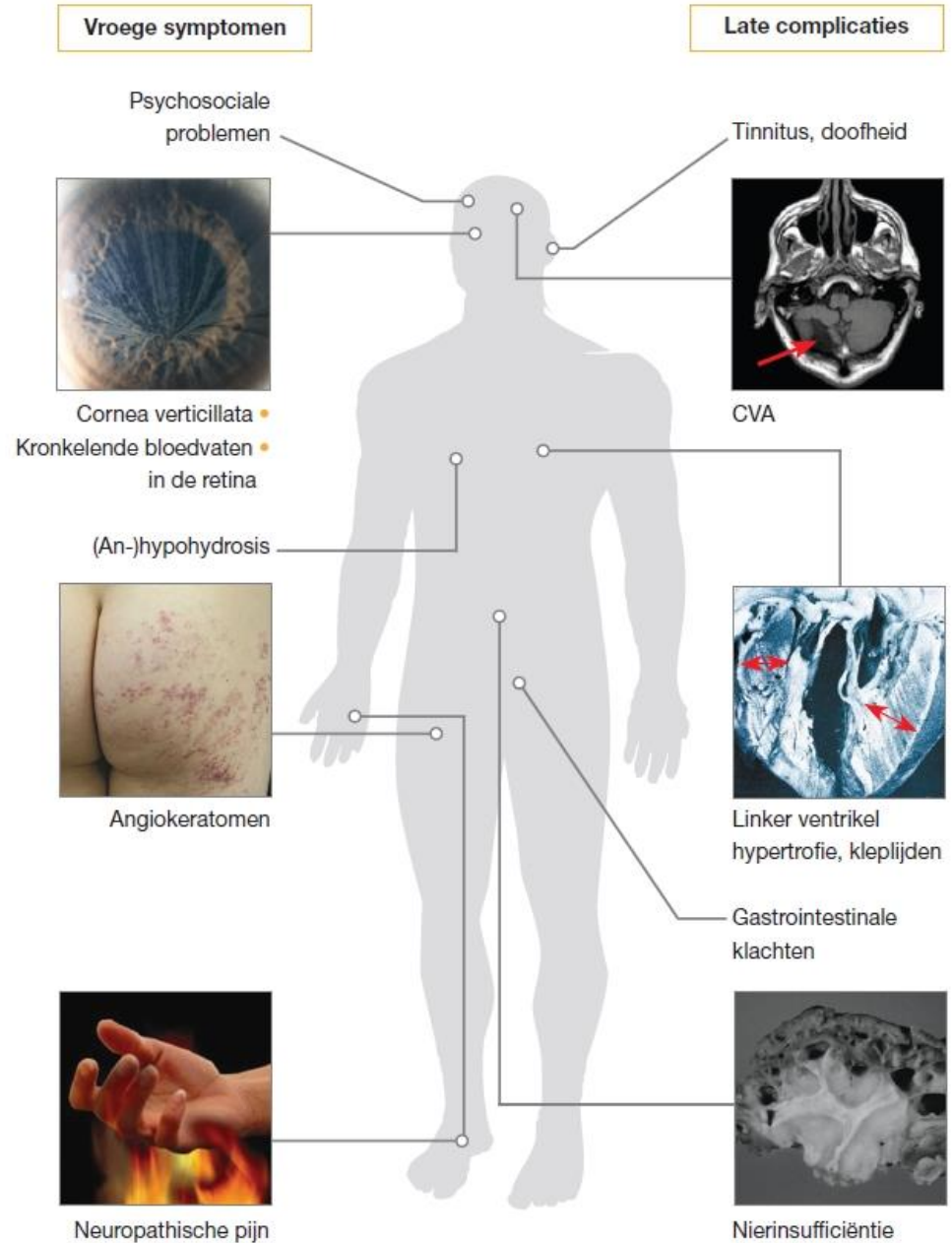


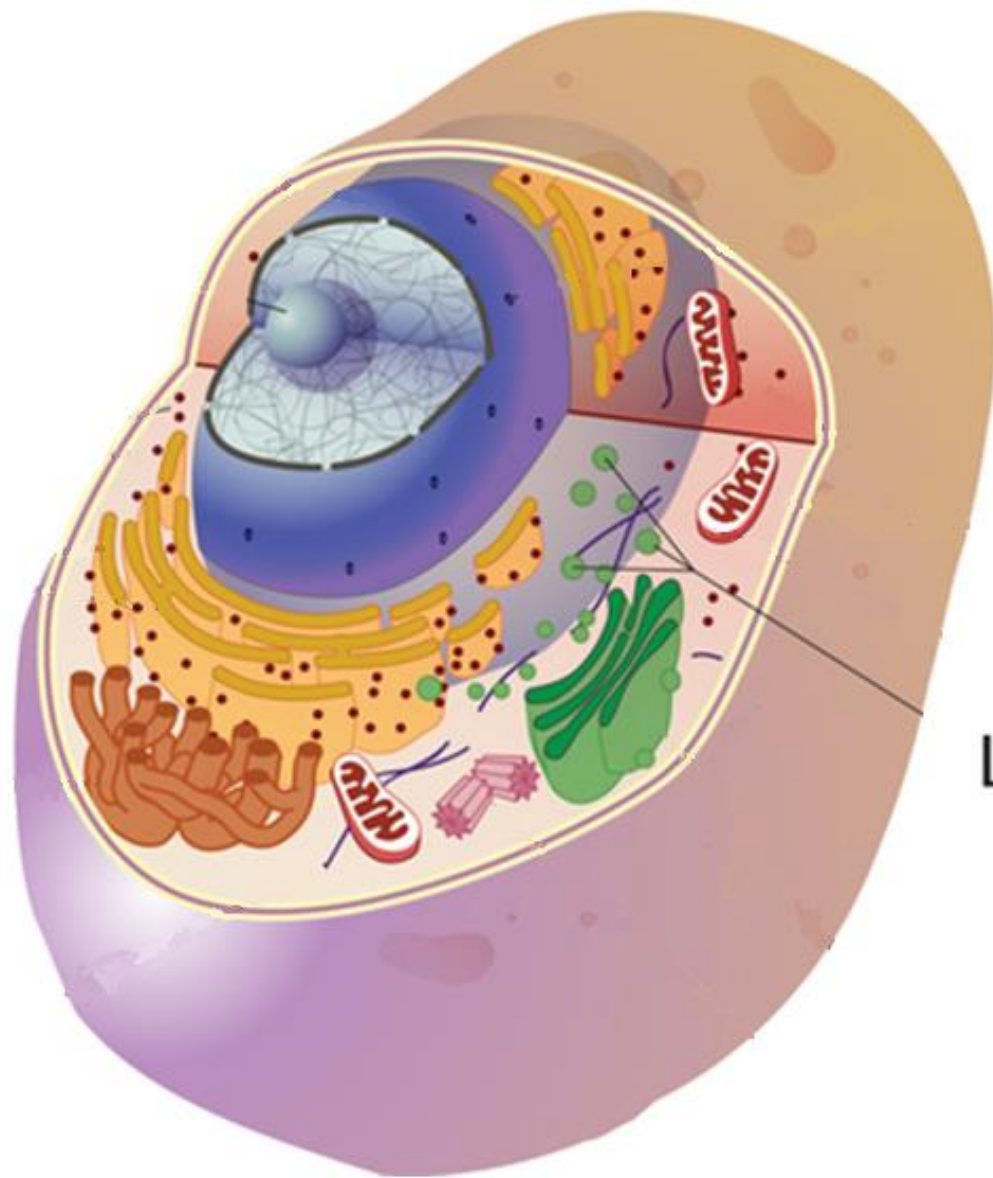
# Studies met een nieuwe vorm van enzymtherapie

Msc Sanne van der Veen



# De ziekte van Fabry





Lysosomes





Afvalblaasje

Blaasjes smelten samen:

# Het lysosoom



Het lysosoom



De membranen van beide blaasjes versmelten met elkaar



Na het samensmelten wordt de inhoud vernietigd door de afbraakeiwitten

# Therapieën

- Fabrazyme
- Replagal

Heeft effect op de negatieve gevolgen van de ziekte, maar niet alle patiënten en niet altijd voldoende.

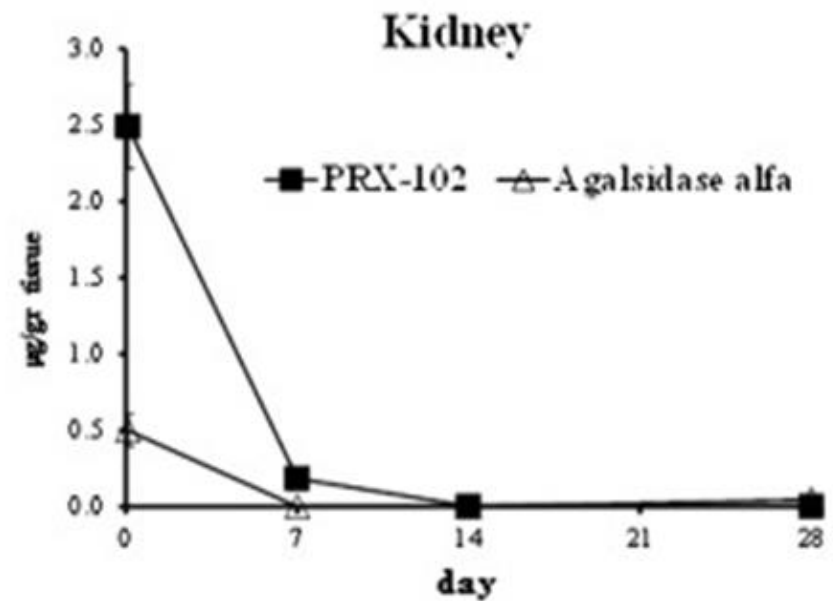
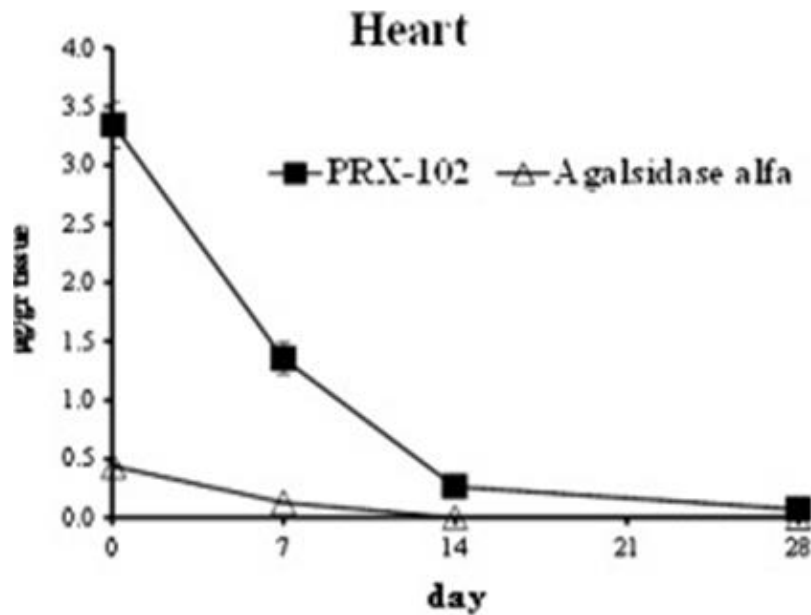
- Nieuwe vorm van enzymtherapie

# Nieuw geneesmiddel

- Pegunigalsidase alpha (PRX-102)
- Protalix
- Menselijk enzym, geproduceerd door planten
- Chemisch veranderd om stabiel te zijn en langer werkzaam te blijven.

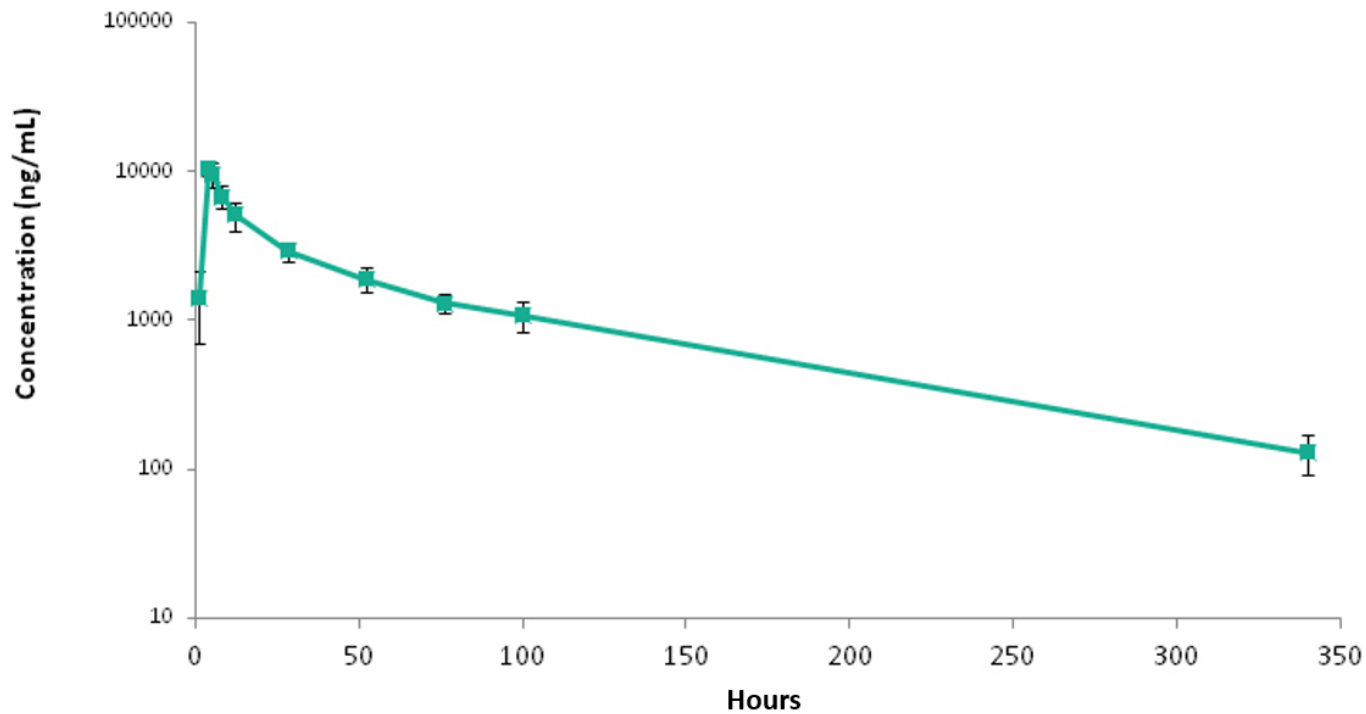
# Resultaten tot nu toe

- In muizen:



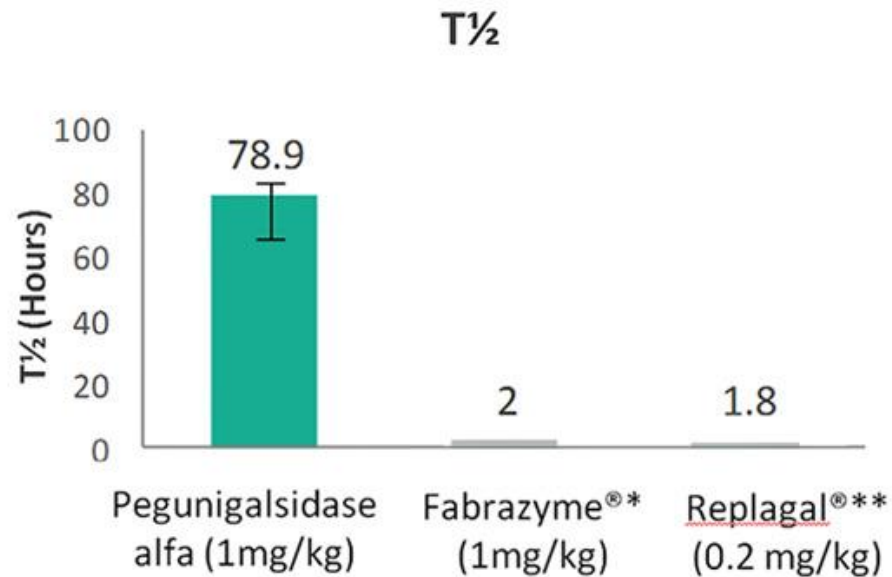
# Resultaten tot nu toe

- In mensen:





# halfwaardetijd



Fabrazyme<sup>®</sup> Prescribing Information \*\* Replagal<sup>®</sup> Prescribing Information\*

# Conclusies

- Stabieler in bloed
- In muizen komt het beter in hart en nieren
- Aanwijzingen dat het minder immuunreactie geeft
  
- Maar: Is het in mensen beter dan replagal en fabrazyme????

# Huidige studies



- Pegunigalsidase versus Fabrazyme
- Gerandomiseerd dubbel blind onderzoek
- 2/3 pegunigalsidase, 1/3 fabrazyme
- Gedurende 2 jaar
- Doel: vaststellen of Pegunigalsidase beter is dan Fabrazyme in het voorkomen van complicaties

# Welke patienten kunnen meedoen

- Mannen en vrouwen
- Klassieke ziekte van Fabry
- Enige achteruitgang van de nierfunctie
- Minstens 1 jaar behandeld met fabrazyme

# Huidige studies



- Effectiviteit en veiligheid van overstappen van Replagal naar Pegunigalsidase
- Gedurende 1 jaar studie
- 3 maanden replagal gevolgd door 9 maanden PRX-102
- Doel: aantonen dat overstappen veilig en effectief is.

# Welke patienten kunnen meedoen

- Mannen en vrouwen
- Klassieke ziekte van Fabry
- Minstens 1 jaar behandeld met Replagal

# Praktisch

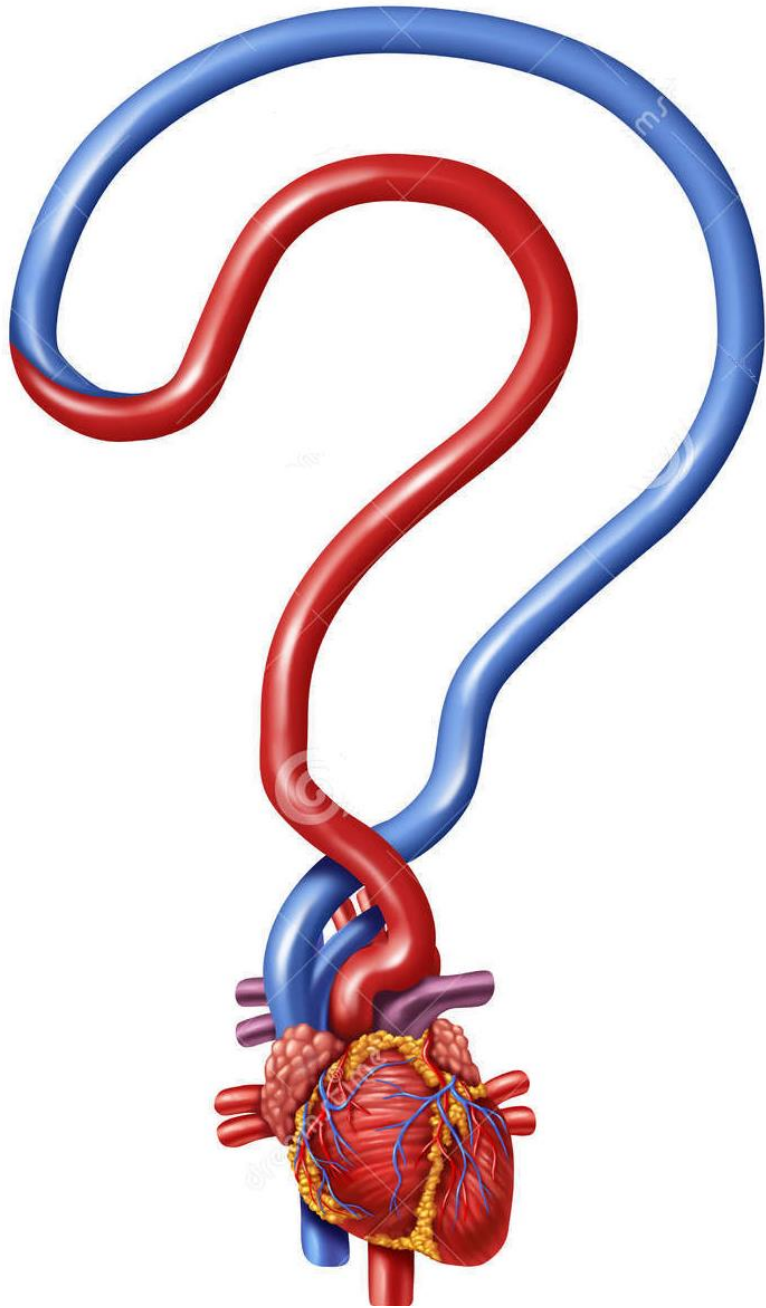
- Indien u in aanmerking komt wordt u benaderd
- Screeningsvisite
- Eerste ca 5 infusies in het AMC, daarna word mogelijkheid van thuisbehandeling bekeken.
- Elke 3 maanden controle i.p.v. elke 6 maanden
- Vergoeding voor reiskosten, maaltijden en overnachting

[s.j.vanderveen@amc.nl](mailto:s.j.vanderveen@amc.nl)

# Het belang van dit onderzoek

- Evaluatie nieuwe behandeling
- Zonder geblindeerd onderzoek niet goed vast te stellen
- Bijdrage voor betere behandeling voor uzelf en toekomstige generaties





[s.j.vanderveen@amc.nl](mailto:s.j.vanderveen@amc.nl)