

Novartis heeft begrip voor de bezorgdheden van de BeNeLuxAI ministers en gaat de dialoog aan om oplossingen te vinden

11 Februari 2020

We begrijpen de bezorgdheden van de BeNeLuxAI ministers omtrent ons Managed Access Program (MAP) en leven erg mee met de ouders die een baby hebben die is gediagnosticeerd met SMA (voluit Spinale Musculaire Atrophie). Het is belangrijk om een open dialoog te voeren met de overheid. Samen, gaan we op zoek naar verschillende opties om waar mogelijk, versneld toegang te bieden na goedkeuring door het Europees geneesmiddelenagentschap (EMA). We luisteren ook naar de vragen en voorstellen van patiëntenverenigingen, families en artsen. Hun input is essentieel en we engageren ons om het programma te blijven evalueren.

De ontwikkeling van gentherapie is een lang, complex en deels handmatig proces. Vandaag beschikken we over slechts 1 productiesite die AVXS-101¹ kan produceren. Er zijn nog 2 bijkomende sites in opbouw die productieklaar zullen zijn in 2021 omwille van de complexiteit van het productieproces, validatie en de licentieprocedure.

Onze eerste verplichting is de gentherapie leveren aan landen waar deze is goedgekeurd (zoals de VS) of waar deze op korte termijn zal worden goedgekeurd, vervolgens moeten er voldoende dosissen zijn om de klinische studies uit te voeren. De vraag naar AVXS-101 in de Verenigde Staten is veel hoger dan verwacht, waardoor ook het aantal beschikbare dosissen van de behandeling beperkt is. Om de resterende dosissen gratis te kunnen aanbieden aan SMA-patiënten in landen waar AVXS-101 nog niet is goedgekeurd, hebben we het Managed Access Program uitgewerkt. Dankzij de MAP zullen wereldwijd 100 SMA-patiënten, jonger dan 2 jaar, een kwalitatief beter leven kunnen opbouwen. We verkiezen liever een beperkt aantal patiënten te helpen met de nog beschikbare behandelingen, dan geen patiënten te helpen.

Omdat we het meest ethisch correcte en eerlijke programma wilden opstellen voor patiënten wereldwijd, hebben we een onafhankelijk expertencomité van ethici, artsen en patiëntvertegenwoordigers ingeschakeld. De selectie van de patiënten gebeurt op basis van een aantal medische criteria. Het is de behandelende arts die het dossier van zijn of haar patiënt indient. Die staat immers het dichtst bij de patiënt, en kan dan ook het best inschatten welke behandeling de patiënt nodig heeft. Nadien evalueert een onafhankelijke partij gespecialiseerd in klinische projecten of de patiënt voldoet aan de medische voorwaarden.

Gentherapieën zoals AVXS-101, zijn revolutionair omdat de therapie zeldzame genetische ziekten bij de bron aanpakt. Een ontbrekend of defect gen wordt vervangen door een nieuw, werkende kopie van het gen, waardoor de functie van het eiwit hersteld wordt. AVXS-101 is de eerste éénmalige gentherapie voor SMA (spinale musculaire atrofie), de meest dodelijke erfelijke kinderziekte. Zonder behandeling kan SMA leiden tot volledig verlies van spiercontrole waardoor permanente beademing voor het tweede levensjaar nodig kan zijn.

1. In de Verenigde Staten door de FDA goedgekeurd als Zolgensma.

Neem voor meer informatie contact op met:

Gina Volkaert

Woordvoerder Novartis BeLux

E:gina.volkaert@novartis.com

M: 0476 88 67 24

Source URL: <https://www.novartis.com/be-nl/news/media-releases/novartis-heeft-begrip-voor-de-bezorgdheden-van-de-beneluxai-ministers-en-gaat-de-dialoog-aan-om-oplossingen-te-vinden>

List of links present in page

1. <https://www.novartis.com/be-nl/news/media-releases/novartis-heeft-begrip-voor-de-bezorgdheden-van-de-beneluxai-ministers-en-gaat-de-dialoog-aan-om-oplossingen-te-vinden>
2. <mailto:gina.volkaert@novartis.com>