

AveXis ontvangt goedkeuring van de Europese Commissie voor de eerste en enige gentherapie voor pediatrische patiënten met spinale musculaire atrofie (SMA)

19 Mei 2020

- *Spinale musculaire atrofie (SMA) is een zeldzame en verwoestende genetische aandoening die leidt tot progressieve spierzwakte, verlamming en, wanneer het in de ernstigste vorm niet wordt behandeld, permanente beademing of overlijden*

Vilvoorde, 19 mei 2020 - AveXis, onderdeel van Novartis, heeft goedkeuring gekregen van de Europese Commissie voor de behandeling van pediatrische patiënten met SMA. Het is een eenmalige gentherapie die ontworpen is om de hoofdoorzaak van de aandoening – een mutatie in het *SMN1*-gen – aan te pakken. De therapie wordt toegediend tijdens een eenmalig intraveneus infuus van één uur waarbij een werkende kopie van het *SMN1*-gen wordt afgegeven aan de cellen van de patiënt, waarmee de progressie van SMA wordt gestopt.

Deze goedkeuring is een heel belangrijke mijlpaal voor de SMA-gemeenschap in Europa en geeft nieuwe hoop aan patiënten en hun families die door deze zeldzame maar verwoestende ziekte worden getroffen

aldus Karel Fol, Country Manager AveXis BeNeLux.

Over spinale spieratrofie (SMA)

Spinale spieratrofie (SMA) is een zeldzame en verwoestende genetische aandoening die leidt tot progressieve spierzwakte, verlamming en, wanneer het in de ernstigste vorm niet behandeld wordt, permanente beademing of overlijden. Patiënten met SMA hebben een erfelijke afwijking. Deze afwijking zit in het SMN-1 gen, het Survival Motor Neuron-1 gen. Hierdoor ontstaat er een tekort aan het SMN-eiwit. Bepaalde zenuwcellen die spieren aansturen, de zogenoemde 'motorneuronen', hebben dit eiwit nodig. Zonder dit eiwit sterven deze zenuwcellen, wat kan leiden tot de ernstige spierziekte SMA. SMA is de belangrijkste genetische doodsoorzaak bij zuigelingen. Als SMA Type 1 onbehandeld blijft, leidt dit in meer dan 90% van de gevallen tot overlijden of de noodzaak van permanente beademing op de leeftijd van twee jaar.

Over AveXis

AveXis, een dochterbedrijf van Novartis, is toegewijd aan het ontwikkelen en op de markt brengen van vernieuwende behandelingen voor patiënten die lijden aan zeldzame en levensbedreigende neurologische genetische aandoeningen. Naast deze vernieuwende behandeling is AveXis ook van plan om andere vernieuwende behandelingen te ontwikkelen voor zeldzame neurologische aandoeningen, waaronder het Rett-syndroom en een genetische vorm van amyotrofe laterale sclerose die worden veroorzaakt door mutaties in het superoxidedismutase 1 (SOD1)-gen. Ga voor meer informatie naar <https://www.avexis.com>.

Over Novartis

Novartis herontdekt de geneeskunde om het leven van mensen te verbeteren en te verlengen. Als toonaangevend wereldwijd geneesmiddelenbedrijf gebruiken we innovatieve wetenschap en digitale technologieën om transformatieve behandelingen te creëren in gebieden met een grote medische behoefte. In onze zoektocht naar nieuwe medicijnen behoren we consequent tot de beste bedrijven ter wereld die investeren in onderzoek en ontwikkeling. Novartis-producten bereiken wereldwijd bijna 800 miljoen mensen en we vinden innovatieve manieren om de toegang tot onze nieuwste behandelingen uit te breiden. Over de hele wereld werken bij Novartis ongeveer 109 000 mensen met meer dan 145 nationaliteiten. Ontdek meer op <https://www.novartis.com>

Novartis is actief op Twitter. Meld u aan en volg @Novartis op <https://twitter.com/novartis> of volg @NovartisNews voor het laatste nieuws en media-updates op <https://twitter.com/novartisnews>.

Media Contact

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/avexis-ontvangt-goedkeuring-van-de-europese-commissie-voor-de-eerste-en-enige-gentherapie-voor-pediatrische-patienten-met-spinale-musculaire-atrofie-sma>

List of links present in page

1. <https://www.novartis.com/be-nl/news/media-releases/avexis-ontvangt-goedkeuring-van-de-europese-commissie-voor-de-eerste-en-enige-gentherapie-voor-pediatrische-patienten-met-spinale-musculaire-atrofie-sma>
2. <https://www.avexis.com>
3. <https://www.novartis.com>
4. <https://twitter.com/novartis>
5. <https://twitter.com/novartisnews>
6. <mailto:gina.volkaert@novartis.com>