



## Prix Galien Pharmaceutical Award 2020

### *Juryrapport VITRAKVI® (larotrectinib) van Bayer*

Sommige tumoren worden veroorzaakt door genfusie. Dit treedt bijvoorbeeld op genen die coderen voor Neurotrofe Tyrosine Receptor Kinase (NTRK). Deze TRK-fusiekankers produceren oncogene eiwitten en veroorzaken tumoren die zowel bij kinderen als volwassenen kunnen voorkomen. Door de lage incidentie van NTRK-genfusies, kan TRK-fusiekanker beschouwd worden als een (zeer) zeldzame ziekte waarvoor tot op heden geen doelgerichte behandelingen beschikbaar waren.

Larotrectinib is een TRK-remmer waarmee het mogelijk is om het genetisch defect van een tumor aan te pakken, ongeacht het weefsel waarin deze tumor ontstaat. Daarmee is dit geneesmiddel een sprekend voorbeeld van gepersonaliseerde behandeling voor een zeldzame vorm van kankers waarvan de biologie goed begrepen is en waarbij het aangrijpen op de oorzaak van de maligniteit. Bij iedere patiënt, ongeacht de leeftijd, waarbij na vooronderzoek is gebleken dat er sprake is van een TRK-fusie kanker kan Larotrectinib werken.

Daarom is het geneesmiddel toegelaten tot de markt voor de behandeling van zowel volwassenen als kinderen vanaf 0 jaar die een lokaal gevorderde of gemetastaseerde solide tumor hebben die gedreven wordt door een NTRK-genfusie. Het geneesmiddel is goedgekeurd als monotherapie en wordt toegediend als capsule of oplossing waardoor de patiënten het geneesmiddel thuis kunnen innemen, wat evidente voordelen heeft. De effectiviteit van de therapie kan nog niet definitief worden vastgesteld maar de mediaan waarden voor de snelheid van de response (korter dan 2 maanden) de afname in tumor volume (68%), de duur van de response (76% na een jaar en 67% na twee jaar), een progressie vrije overleving van bijna 3 jaar en de relatief geringe bijwerkingen hebben de registratieautoriteiten overtuigd van de meerwaarde van Larotrectinib bij deze zeer specifieke tumoren.

De Jury van de Prix Galien Pharmaceutical Award heeft vanwege het innovatieve karakter, de toepasbaarheid bij uiteenlopende tumoren bij zowel kinderen als volwassenen en het leveren van bijdrage van een behandeling van tumoren waarvoor geen behandeling bestond, besloten de Prix Galien Pharmaceutical Award 2020 toe te kennen aan larotrectinib (VITRAKVI®).

*Prof. dr. J. (Koos) Burggraaf*

*Juryvoorzitter Prix Galien Pharmaceutical - & Research Award*

*Namens de jury van de Prix Galien Nederland*