



Prix Galien Biological Award

Juryrapport voor ZOLGENSMA (onasemnogen abeparvovec) Winnaar van deze Prijs 2022

Namens de jury mag ik aankondigen dat de winnaar van Prix Galien **Biological Award** 2022 het middel **ONASEMNOGEN ABEPARVOVEC** van de firma Novartis is geworden, ook bekend onder de merknaam **ZOLGENSMA**. Die laatste naam zal ik in het vervolg van juryrapport gebruiken.

De jury heeft hiertoe besloten omdat **ZOLGENSMA** het eerste geregistreerde gentherapieproduct middel is voor erfelijke Spinale Spier Atrofie type 1 – wat we meestal aanduiden met SMA-1. Een zeer ernstige variant van de groep SMA's, die het meeste voorkomt en vaak al op kinderleeftijd tot zeer ernstige problemen en niet zelden tot de dood. De ziekte berust op de afwezigheid of een serieuze mutatie in het SMN-1 gen en kan dus alleen bestreden worden door het vervangen van het gen door een volledig functionele kopie van het SMN1 gen. Daardoor kan het functionele eiwit worden gemaakt en wordt het atrofieren en afsterven van de zenuwcellen voorkomen.

Dat is precies wat Zolgensma doet: door gebruik te maken van een adenovirus waarin een kopie van het menselijke SMN-1 gen en een cytomegalie-virus promotor is ingebouwd en dat intraveneus toe te dienen wordt de functie van de zenuwcellen functioneel. Dat leidt tot spectaculaire resultaten: een snelle en langdurige verbetering van de spierfunctie wat zich in een betere motoriek, een verbeterde groei waarschijnlijk omdat de spieren die betrokken zijn bij slikken en eten beter functioneren, en uiteindelijk ook in een verlengde overleving zonder SMA-incidenten. Dat wil niet zeggen dat er geen bijwerkingen zijn, maar die zijn in het algemeen redelijk tot goed te controleren. Daardoor is benefit-risk profiel uiteindelijk heel gunstig, omdat het uiteindelijk gaat om wel of niet leven.

ONASEMNOGEN ABEPARVOVEC is volgens de jury een bewijs voor de potentie van innovatieve gentherapie met indrukwekkende klinische resultaten en dus alle reden om dit geneesmiddel uit te roepen tot de winnaar van Prix Galien Biological Award van 2022.

Prof. dr J. (Koo) Burggraaf
Juryvoorzitter Prix Galien Research -, Pharmaceutical - en Biological Award
Namens de jury van de Prix Galien Nederland