

Het FDA keurt een nieuw geneesmiddel goed tegen de Ziekte van Huntington

Deutetrabenazine is het eerste geneesmiddel in een decennium door de FDA goedgekeurd voor symptomen v/d ZvH



Geschreven door Dr Jeff Carroll | 22 augustus 2017

Bewerkt door Dr Tamara Maiuri | Vertaald door Vik Hendrickx
Origineel gepubliceerd op 5 april 2017

Belangrijk nieuws voor de ZvH gemeenschap deze week. Het FDA, het Amerikaanse overheidsagentschap dat o.a. de kwaliteit van medicijnen controleert, heeft Austedo goedgekeurd als medicijn voor de ZvH. Austedo is ook bekend als deutetrabenazine en is een gewijzigde vorm van tetrabenazine. Het helpt de chorea te controleren, de onwillekeurige bewegingen die vaak optreden bij ZvH-patiënten. Deutetrabenazine wordt doorgaans slechts twee keer i.p.v. drie keer per dag ingenomen.

Achtergrond van tetrabenazine

Tetrabenazine heeft een lange voorgeschiedenis als middel tegen de ZvH, wij hebben hier vroeger reeds over gerapporteerd in <https://nl.hdbuzz.net/184> en <https://nl.hdbuzz.net/224>. Het medicijn wordt gebruikt om de onwillekeurige, dansachtige bewegingen die zo typisch zijn voor de ZvH te beperken. In de jaren zeventig werd tetrabenazine goedgekeurd in sommige landen, waaronder het Verenigd Koninkrijk, voor gebruik bij de ZvH. Pas in 2008 werd tetrabenazine het eerste medicijn dat expliciet goedgekeurd was voor ZvH in de Verenigde Staten.

Chorea beperken is een belangrijk onderdeel van symptoombestrijding, en veel ZvH-patiënten doen hun voordeel met het medicijn. Maar zoals alle geneesmiddelen heeft tetrabenazine ook nadelen, waaronder een verhoogd risico op depressie, en suïcidale gedachten. Een ander probleem met tetrabenazine is dat het snel door het lichaam wordt afgebroken, waardoor veel ZvH-patiënten de pillen drie keer per dag moeten innemen. Dit is vooral lastig voor menselijke geheugen- en andere denkproblemen ervaren als gevolg van de ZvH. Zij vergeten makkelijk hun medicijnen in te nemen.

Met als doel deze problemen te beperken ontwikkelde een klein biotechnologiebedrijf, Auspex Pharmaceuticals, een aangepaste versie van tetrabenazine (beschreven in <https://nl.hdbuzz.net/184>). Zij noemde deze nieuwe versie van tetrabenazine ** deutetrabenazine **

(of soms ** SD-809), **omdat **deuterium** atomen werden omgezet in de structuur van tetrabenazine. Deze aanpassing helpt het medicijn langer in de bloedstroom te houden - wat betekent dat er minder frequent pillen nodig zijn.

De Huntington Studie Groep (HSG) heeft in samenwerking met Auspex twee studies met deutetrabenazine uitgevoerd tussen 2013 en 2015 die First-HD en ARC-HD werden genoemd. In deze studies werd deutetrabenazine op twee manieren onderzocht: in de Firts-HD-studie werd getest of deutetrabenazine beter was dan dummy pillen bij het beperken van chorea. De resultaten van dit onderzoek waren positief - net zoals tetrabenazine, vermindert een deutetrabenazine behandeling chorea bij ZvH-patiënten. De Arc-HD studie was ontworpen om de veiligheid te waarborgen van patiënten bij het overschakelen van tetrabenazine naar deutetrabenazine. De overschakeling bleek veilig te zijn.

Wat nu?

Onlangs is het deutetrabenazine verhaal op verschillende belangrijke manieren veranderd. Ten eerste werd Auspex overgenomen door het Israëliisch pharmabedrijf Teva. Ten tweede heeft Teva deutetrabenazine ter goedkeuring voorgelegd aan het Amerikaanse FDA bij de behandeling van de ZvH, op basis van de succesvolle Arc- en First-HD studies. Het goedkeuringsproces voor deutetrabenazine werd iets vertraagd midden 2016 nadat het FDA aan Teva om aanvullende informatie vroeg over het geneesmiddel. Deutetrabenazine is tot nu toe het eerste geneesmiddel met deuteriumatomen voor mensen, dus extra voorzichtigheid van Teva en de FDA was noodzakelijk.

Deze week heeft Teva aangekondigd dat het FDA voldoende verduidelijking heeft gekregen en dat deutetrabenazine is goedgekeurd in de Verenigde Staten voor gebruik bij ZvH-patiënten. Dit suggereert dat alle aanvullende veiligheidsvragen van het FDA zijn aangepakt, en dat deutetrabenazine veilig is voor gebruik. Aangezien het product nu op de markt mag worden gebracht krijgt het een nieuwe commerciële naam: **Austedo**.

Wat met de kosten?

Eerste indicaties geven aan dat Austedo waarschijnlijk ietwat goedkoper zal zijn dan tetrabenazine. Vroege officiële uitspraken van Teva suggereren dat Austedo ongeveer een derde minder zou kosten dan de equivalente dosis tetrabenazine. Het is moeilijk te voorspellen hoe een nieuw geneesmiddel de totale kosten voor ZvH-patiënten zal beïnvloeden. Ook het voorschrijfgedrag is van belang. Bijvoorbeeld, de fabrikanten van tetrabenazine kunnen hun prijzen laten dalen, of het nieuwe geneesmiddel kan duurder worden als de afname lager is dan verwacht.

Te onthouden

Dit is het gelukkige einde van het deutetrabenazine verhaal en we kijken uit naar de reactie van mensen met de ZvH die dit geneesmiddel in de echte wereld gebruiken. De ZvH-gemeenschap heeft zijn rol gespeeld door snel deel te nemen aan proeven die door de HSG werden uitgevoerd,

terwijl Auspex en Teva het moeilijke begeleidingswerk van het goedkeuringsproces op zich hebben genomen.

Austedo is een nieuw wapen in de strijd van artsen en families tegen de symptomen van de ZvH. Elke effectieve behandeling tegen de symptomen van ZvH is een welgekomen ondersteuning, omdat we trachten geneesmiddelen te ontwikkelen die de progressie van de ziekte kunnen voorkomen of vertragen.

De auteurs hebben geen belangenconflicten te verklaren. Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangenconflicten, zie FAQ...

VERKLARENDE WOORDENLIJST

chorea onvrijwillige, onregelmatige 'ongedurige' bewegingen die veel voorkomen bij de ZvH

© HDBuzz 2011-2018. De inhoud van HDBuzz mag vrij gedeeld worden met anderen, onder de Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz is geen bron van medisch advies. Voor meer informatie ga naar hdbuzz.net

Gegenereerd op 28 juni 2018 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/236>

Sommige tekst op deze pagina is nog niet vertaald. Het is hieronder weergegeven in de oorspronkelijke taal. We zijn bezig om alle inhoud zo snel mogelijk te vertalen.