

Verwachte nieuwe middelen tegen spierziekten*

Spierziekte	Naam middel (productnaam)	Verwacht werkingsmechanisme
ALS	Ibudilast (MN-166)	Remt ontsteking en celschade en beschermt zenuwcellen tegen afbraak
ALS	Mastinib (Alsitek)	Remt ontsteking en celschade en beschermt zenuwcellen tegen afbraak. Bedoeld als aanvullende therapie bij riluzol (Rilutek)
ALS	Pridopidine (PL-101)	Beschermt zenuwcellen tegen schade en afbraak
ALS	Reldesemtiv (CK-2127107)	Activeert het eiwit troponine in de spieren en verhoogt daarmee de spierkracht
ALS	Tofersen (Qalsody)	Vermindert de aanmaak van het schadelijke SOD1-eiwit bij mensen met een genafwijking in het SOD1-gen (klein deel van de mensen met ALS)
CMT/HMSN 1A	Baclofen/naltrexon/sorbitol (PXT 3003)	Verbeterd de signaaloverdracht van zenuwen door de productie van het eiwit PMP22 te verminderen
Duchenne	Vamorolone (Agamree)	Vermindert ontsteking in de spieren door de afweer te onderdrukken
Duchenne	Fordadistrogene movaparvovec (PF-06939926)	Vervangt het aangedane gen (gentherapie)
Duchenne	Givinostat (Duvyzat)	Activeert mechanismen in het lichaam om spiervezels te herstellen en vernieuwen en ontstekingen te verminderen
Duchenne	Viltolarsen (Viltepso)	Zorgt ervoor dat exon 53 van het dystrofine-gen bij het vertalen van het DNA naar eiwit wordt overgeslagen waardoor er een korter maar werkend eiwit ontstaat

*Innovatieve nieuwe geneesmiddelen waarvan men verwacht dat ze binnen twee jaar op de Europese markt beschikbaar zullen komen (bron: [Horizonscan geneesmiddelen](#), juni '24). Een garantie dat deze middelen ook echt gebruikt en vergoed gaan worden, is er niet. Ze moeten eerst verder onderzocht en beoordeeld worden.

FA	Omaveloxolone (Skyclarys)	Verbeterd de werking van de mitochondriën en gaat celschade door schadelijke zuurstofverbindingen tegen
FSHD	Losmapimod (GW856553X)	Vermindert de hoeveelheid schadelijk DUX4-eiwit door de activiteit van het DUX4-gen te beïnvloeden
MG	Satralizumab (Enspryng)	Beperkt het schadelijke effect van MG-antilichamen door een onderdeel van het afweersysteem (IL-6) te remmen
MG	Rozanolixizumab-noli (Rystiggo)	Beperkt het schadelijke effect van MG-antilichamen door een onderdeel van het afweersysteem (FcRn) te remmen
MG	Efgartigimod alfa (Vyvgart)	Beperkt het schadelijke effect van MG-antilichamen door een onderdeel van het afweersysteem (FcRn) te remmen
MG	Zilucoplan (Zilbrysq)	Beperkt het schadelijke effect van MG-antilichamen door een onderdeel van het afweersysteem (complementsysteem) te remmen
MG	Eculizumab (Soliris)	Beperkt het schadelijke effect van MG-antilichamen door een onderdeel van het afweersysteem (complementsysteem) te remmen. Betreft een indicatie-uitbreiding om het middel beschikbaar te maken voor kinderen van 6-18 jaar
Pompe	Avalglucosidase alfa (Nexviadyme)	Vervangt het missende enzym (enzymvervangende therapie)
Pompe	Cipaglucosidase alfa (Pombiliti)	Vervangt het missende enzym (enzymvervangende therapie)
SMA	Apitegromab (SRK-015)	Verbeterd de motorische functie door eiwitten te blokkeren die de spiergroei remmen
SMA	Risdiplam (Evrysdi)	Gaat afbraak van motorische zenuwcellen tegen door SMN-eiwitniveaus in het centraal zenuwstelsel te verhogen. Betreft een indicatie-uitbreiding om het middel beschikbaar te maken voor kinderen <2 maanden oud



**TK2-deficientie
(mitochondrieel
depletiesyndroom 2)**

Deoxythymidine en
deoxycytidine

Vult onderdelen van het mitochondrieel
DNA aan, om te compenseren voor een
tekort aan het TK2-eiwit