



Ervaringen met Zolgensma en Spinraza

Auteur: Nicole Tromp, 2 maart 2022

Diagnosewerkgroep SMA, 02 maart 2022

Tijdens de Webconferentie SMA op 12 november deelde Andries zijn ervaringen met Zolgensma en Spinraza.



De laatste lezing tijdens de Webconferentie SMA werd gegeven door Andries. Andries is de vader van vier dochters waarvan twee jongste dochters SMA hebben. Beide dochters met SMA krijgen een behandeling in het SMA Expertisecentrum. Het oudste meisje wordt behandeld met Spinraza en de jongste dochter met het middel Zolgensma.

Toen de derde dochter van Andries SMA bleek te hebben, waren er nog maar weinig behandelopties. Spinraza was toen de enige mogelijkheid voor behandeling. De familie was er dan ook snel van overtuigd dat ze deze kans moesten grijpen. Vol overgave zijn zij gestart met het behandelingstraject. Gelukkig reageerde het meisje goed op de behandeling en waren er geen nare bijwerkingen. Andries en zijn vrouw hoopten op stabilisatie van de ziekte, maar inmiddels heeft zij grote sprongen voorwaarts gemaakt. Ze bezoekt een reguliere school, rijdt in een gewone handbewogen rolstoel en kan bijvoorbeeld zwemmen zonder bandjes. De ouders hadden dit nooit verwacht en zijn erg blij met deze ontwikkelingen ondanks een zwaar behandeltraject.

De behandeling met Zolgensma vond plaats voordat het baby'tje symptomen vertoonde van de ziekte. Zij was toen slechts zes weken oud. Bloedonderzoek direct na de geboorte zorgde voor een snelle diagnose. Andries en zijn partner stonden voor een moeilijke keuze. Welke behandeling moesten zij kiezen? Dankzij de informatie en de ondersteuning van het Expertisecentrum konden zij uiteindelijk een goede keus maken. Voor de ouders was het belangrijk om te weten dat het DNA van hun dochter door de gentherapie niet zou worden gewijzigd.

Begin november zat het meisje nog volop in het afbouwtraject van de immuunonderdrukkende medicijnen. Deze medicijnen zijn nodig om de gentherapie succesvol haar werk te laten doen. Hoewel de behandeling eenmalig is, is het vanwege deze medicatie toch een zeer intensief traject. Zo werd het kleine meisje een week opgenomen in het ziekenhuis. Zij verbleef enkele dagen op de intensive care. Haar bloedwaarden werden strak gecontroleerd om complicaties te voorkomen. Ook bij thuiskomst wordt het meisje goed gemonitord. Wekelijks gaat zij naar het ziekenhuis om bloed te prikken.

Er is tot nu toe nog weinig bekend wat de behandeling doet bij presymptomatische patiëntjes. De gegeven data uit het buitenland zien er veelbelovend uit, maar over de lange termijn verwachtingen is nog weinig bekend. Andries hoopt dat zijn jongste dochter zonder ziekteverschijnselen kan opgroeien, maar de toekomst moet dit nog uitwijzen.