

Verwachte nieuwe middelen tegen spierziekten*

Spierziekte	Naam middel (productnaam)	Verwacht werkingsmechanisme
ALS	Lenzumestrocel (Neuronata-R)	Bevordert overleving en herstel van zenuwcellen en remt ontsteking. Het gaat om een celtherapie
ALS	Mastinib (Alsitek)	Remt ontsteking en celschade en beschermt zenuwcellen tegen afbraak. Bedoeld als aanvullende therapie bij riluzol (Rilutek)
ALS	Pridopidine (PL-101)	Beschermst zenuwcellen tegen schade en afbraak
ALS	Gold nanocrystals	Beschermst zenuwcellen door schadelijke zuurstofverbindingen tegen te gaan
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)	Verbeterst de signaaloverdracht van zenuwen door de productie van het eiwit PMP22 te verminderen
CIDP	Efgartigimod alfa / hyaluronidase (Vyvgart Hytrulo)	Beperkt schade aan de spieren die veroorzaakt wordt door de ziektemakende antilichamen, door onderdelen van het afweersysteem te remmen
Duchenne	Fordadistrogene movaparvovec (PF-06939926)	Vervangt het aangedane gen (gentherapie)
Duchenne	Delandistrogene moxeparvovec (Elevidys)	Vervangt het aangedane gen (gentherapie)
Duchenne	Givinostat (Duvyzat)	Activeert mechanismen in het lichaam om spiervezels te herstellen en vernieuwen en ontstekingen te verminderen
Duchenne	Deramiocel	Remt ontsteking door het afweersysteem te moduleren. Het gaat om een celtherapie

*Innovatieve nieuwe geneesmiddelen waarvan men verwacht dat ze binnen twee jaar op de Europese markt beschikbaar zullen komen (bron: [Horizonscan geneesmiddelen](#), juni '25). 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)	Verbetert de werking van de mitochondriën en gaat celschade door schadelijke zuurstofverbindingen tegen
FA	Vatiquinone (PTC-743)	Verbetert de werking van de mitochondriën en gaat celschade door schadelijke zuurstofverbindingen tegen
Guillain-Barré syndroom	ANX-005	Remt zenuwschade en verbetert spierkracht door een onderdeel van het afweersysteem (complementsysteem) te onderdrukken
LGMD2E	Bidridistrogene xeboparvovec (SRP-9003)	Vervangt het aangedane gen met gentherapie
MG	Inebilizumab (Uplizna)	Schakelt schadelijke afweercellen uit en vermindert daardoor ontsteking en zenuwschade
MG	Rozanolixizumab-noli (Rystiggo)	Beperkt het schadelijke effect van MG-antilichamen door een onderdeel van het afweersysteem (FcRn) te remmen
MG	Nipocalimab (M281)	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
Niet-dystrofische myotonie	Mexilitine	Stabiliseert natriumkanalen in spiercellen om overmatige elektrische prikkels te verminderen en spierstijfheid te verlichten. Dit middel is in Nederland al beschikbaar. Het gaat om een indicatie-uitbereiding waarbij de fabrikant dit middel als een commercieel product voor kinderen op de markt wil brengen
Pompe	Avalglucosidase alfa (Nexviadyme)	Vervangt het missende enzym (enzymvervangende therapie)
Pompe	Cipaglucosidase alfa (Pombiliti)	Vervangt het missende enzym (enzymvervangende therapie)

SMA	Apitegromab (SRK-015)	Verbetert de motorische functie door eiwitten te blokkeren die de spiergroei remmen
TK2-deficientie (mitochondrieel depletiesyndroom 2)	Doxecitine / doxiribtimine	Vult onderdelen van het mitochondrieel DNA aan, om te compenseren voor een tekort aan het TK2-eiwit