

Verwachte nieuwe middelen tegen spierziekten*

Spierziekte	Naam middel (productnaam)	Verwacht werkingsmechanisme
ALS	Pridopidine (PL-101)	Beschermt zenuwcellen tegen schade en afbraak
ALS	Lenzumestrocel (Neuronata-R)	Bevordert overleving en herstel van zenuwcellen en remt ontsteking. Het gaat om een celtherapie
ALS	Ibudilast	Remt ontsteking en schade aan zenuwcellen door bepaalde ontstekingsignalen in het lichaam te verminderen
ALS	Gold Nanocrystals	Beschermt zenuwcellen door schadelijke zuurstofverbindingen tegen te gaan.
CMT/HMSN 1A	Baclofen/naltrexon/sorbitol (PXT 3003)	Verbeterd 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	Delandistrogene moxeparvovec (Elevidys)	Vervangt het aangedane gen (gentherapie)
Duchenne	Casimersen	Stimuleert het overslaan van exon 45 bij de productie van het dystrofine-eiwit, zodat er een korter maar werkend eiwit ontstaat
Duchenne	Deramiocele	Remt ontsteking door het afweersysteem te moduleren. Het gaat om een celtherapie
Duchenne	Vamorolone	Vermindert ontsteking in de spieren door de afweer te onderdrukken
Duchenne	Givinostat (Duvyzat)	Activeert mechanismen in het lichaam om spiervezels te herstellen en vernieuwen en om ontstekingen te verminderen

*Innovatieve nieuwe geneesmiddelen waarvan men verwacht dat ze binnen twee jaar op de Europese markt beschikbaar zullen komen (bron: [Horizonscan geneesmiddelen](#), december '25). Een garantie dat deze middelen ook echt gebruikt en vergoed gaan worden, is er niet. Ze moeten eerst verder onderzocht en beoordeeld worden.

Duchenne	Delpacibart zotadirsen	Stimuleert het overslaan van exon 44 bij de productie van het dystrofine-eiwit, zodat er een korter maar werkend eiwit ontstaat
FA	Omaveloxolone (Skyclarys)	Verbeterd de werking van de mitochondriën en gaat celschade door schadelijke zuurstofverbindingen tegen
FA	Vatiquinone (PTC-743)	Verbeterd de werking van de mitochondriën en gaat celschade door schadelijke zuurstofverbindingen tegen
GBS	Tanruperubart (voorheen: 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	Nipocalimab	Beperkt het schadelijke effect van MG-antilichamen door een onderdeel van het afweersysteem (FcRn) te remmen
MG	Rozanolixizumab-noli (Rystiggo)	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
Multifocal motor neuropathy	Empasiprubart	Blokkeert een schadelijk afweerproces waardoor zenuwen minder beschadigd raken en spieren beter blijven werken
Niet-dystrofische myotonie	Mexilitine, indicatie-uitbreiding voor commercieel gebruik bij kinderen	Stabiliseert natriumkanalen in spieren om overmatige elektrische prikkels te verminderen en stijfheid te verlichten
SMA	Nusinersen (Spinraza), verhoogde dosis	Stimuleert de aanmaak van SMN-eiwit waardoor zenuwcellen beter werken en spierzwakte afneemt

SMA	Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma), intrathecale toediening (ruggenprik)	Vervangt het aangedane gen met gentherapie
SMA	Apitegromab (SRK-015)	Verbeterd 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