

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	Cnm-au8 (gold nanocrystals)	Beschermst zenuwcellen door schadelijke zuurstofverbindingen tegen te gaan
Becker spierdystrofie	Sevasemten	Verbeterd de stabiliteit van spiervezels waardoor schade door het dystrofie-tekort vermindert en het ziekteproces mogelijk vertraagt
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	Casimersen	Stimuleert het overslaan van exon 45 bij de productie van het dystrofie-eiwit, zodat er een korter maar werkend eiwit ontstaat
Duchenne	Deramioceel	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
Duchenne	Delpacibart zotadirsen	Stimuleert het overslaan van exon 44 bij de productie van het dystrofie-eiwit, zodat er een korter maar werkend eiwit ontstaat
Duchenne	Golodirsen	Stimuleert het overslaan van exon 53 bij de productie van het dystrofie-eiwit,

*Innovatieve geneesmiddelen waarvan men verwacht dat ze binnen twee jaar op de Europese markt beschikbaar zullen komen (bron: [Horizonscan geneesmiddelen](#), juni '26). Een garantie voor beschikbaarheid en vergoeding is er niet. Ze moeten eerst verder onderzocht en beoordeeld worden.

		zodat er een korter maar werkend eiwit ontstaat
FA	Nomlabofusp	Brengt menselijk frataxine in de mitochondriën, om het tekort aan eigen frataxine aan te vullen
FA	Vatiquinone (PTC-743)	Verbeterd de werking van de mitochondriën en gaat celschade door schadelijke zuurstofverbindingen tegen
GBS	Tanrurubart (voorheen: ANX-005)	Remt zenuwschade en verbetert spierkracht door een onderdeel van het afweersysteem (complementsysteem) te onderdrukken
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	Gefurulimab	Beperkt het schadelijke effect van MG-antilichamen door een onderdeel van het afweersysteem (C5) te remmen
Multifocal motor neuropathy	Empasiprubarb	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 SMN-gen met gentherapie
SMA	Apitegromab (SRK-015)	Verbeterd de motorische functie door eiwitten te blokkeren die de spiergroei remmen



**SPIERZIEKTEN
NEDERLAND**

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

Doxecitine / doxiribtimine

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