

Geneesmiddelenonderzoek: Wat loopt er en waar staan we?

Dr. Karlien Mul, neuroloog Radboudumc

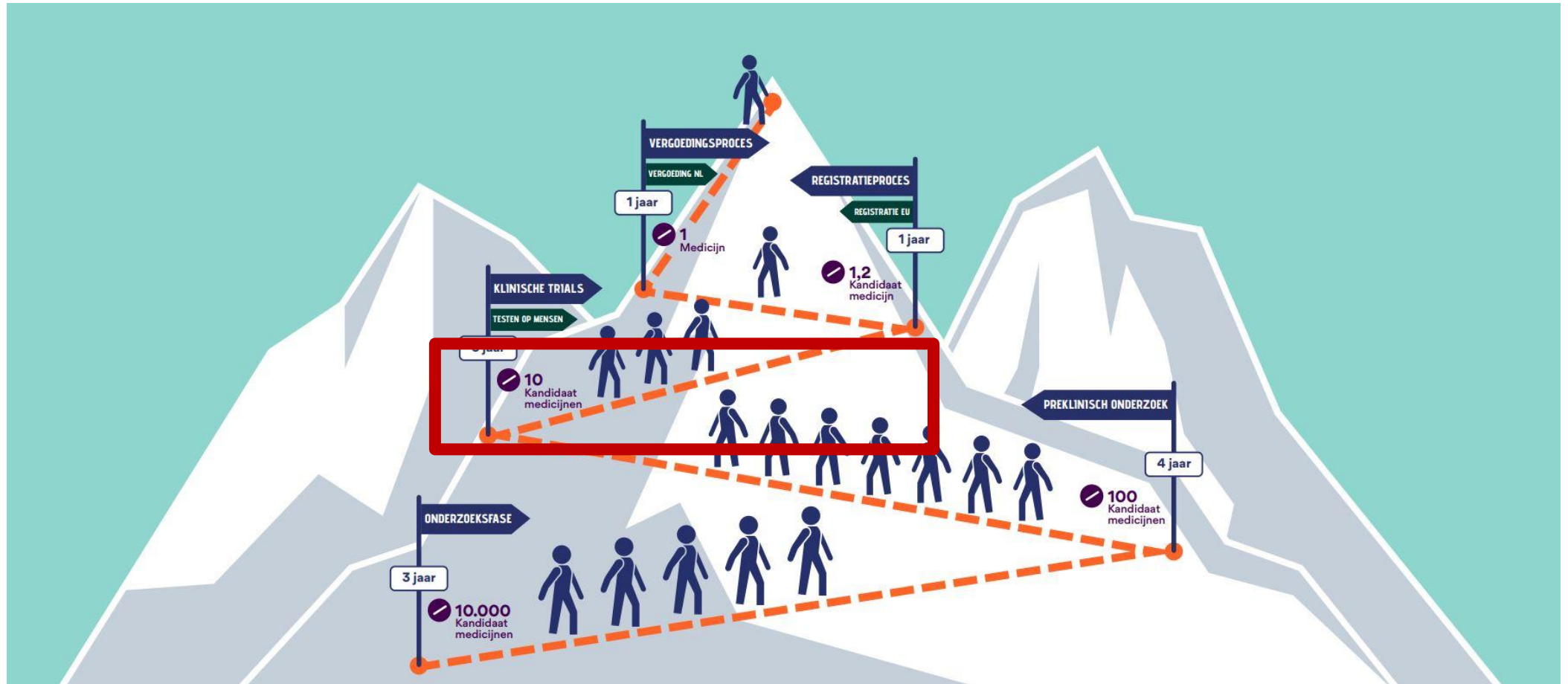
Onderwerpen

- Wat zijn medicijnonderzoeken (klinische trials?)
- De huidige status van medicijnonderzoeken

Onderwerpen

- Wat zijn medicijnonderzoeken (klinische trials?)
- De huidige status van medicijnonderzoeken

Ontwikkelpad medicijnen



Fases van onderzoek



- Fase 1: Gezonde proefpersonen / kleine groep patiënten.
Doel: korte termijn veiligheid
- Fase 2: kleine groep patiënten.
Doel: lange termijn veiligheid + testen verschillende doseringen
- Fase 3: grote groep patiënten. Vaak 50% medicijn, 50% placebo.
Doel: Werkzaamheid



Nationaal MD Trial Netwerk



MYOTONE DYSTROFIE
EXPERTISECENTRUM

Onderwerpen

- Wat zijn medicijnonderzoeken (klinische trials?)
- De huidige status van medicijnonderzoeken

Gericht op
één
symptoom

Lopende trials wereldwijd

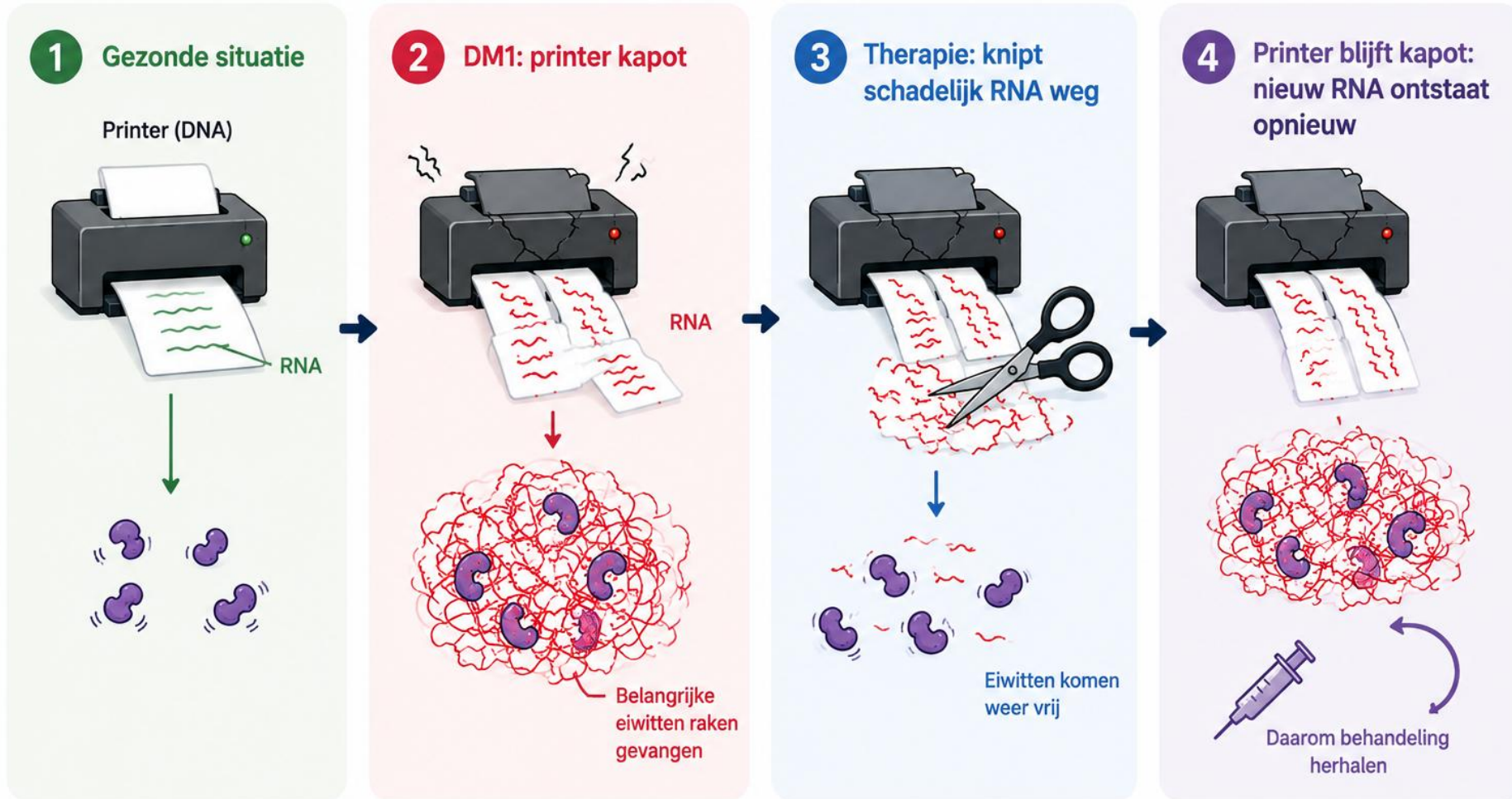
COMPANY	PROGRAM / LEAD CANDIDATE	MODALITY	DM SUBTYPE	PRE-CLINICAL	PHASE 1	PHASE 2	PHASE 3	DRUG TARGET / MECHANISM	PRESS RELEASES & MORE	MDF CONFERENCE / INDUSTRY UPDATE	MDF MEET-THE-DM-DRUG-DEVELOPERS
AMD Pharma Ltd	Tideglusib	Small Molecule	CDM / DM1					Glycogen synthase kinase 3 beta (GSK3β)	AMD Pharma News	2024 Update	2023 Webinar
Avidity Biosciences	ADC 1001 del-desiran	Antibody Conjugated Oligonucleotide	DM1					DMPK	Avidity News	2025 Update	2024 Webinar
Lupin Neurosciences	Mexiletine	Small Molecule	DM1 / DM2					Sodium Channels	Lupin News	2025 Update	2024 Webinar
Dyne Therapeutics	Dyne 101 z-basharsen	Antibody Fragment Conjugated Antisense Oligonucleotide	DM1					DMPK	Dyne News	2025 Update	2025 Webinar
ARTHEX Biotech	ATX-D1	Antisense microRNA Oligonucleotide	DM1					MBNL via miR-23b	ARTHEX News	2025 Update	2024 Webinar
Harmony Biosciences	Pitolisant	Small Molecule	DM1					Histamine-3 receptor (H3R)	Harmony News	2023 Update	2022 Webinar
PepGen (University of Oxford Spinout)	PGN-ED0DM1	Peptide Conjugated Antisense Oligonucleotide	DM1					DMPK	PepGen News	2025 Update	2024 Webinar
Juvena Therapeutics	JUV-161	Stem Cell-Secreted Proteins	DM1					--	Juvena News	2025 Update	2024 Webinar
Vertex	VX-670	Peptide Conjugated Oligonucleotide	DM1					DMPK	Vertex News	2025 Update	
Sanofi	--	miRNA Technology in Adeno-Associated Virus	--					DMPK	Sanofi News	2025 Update	
Sarepta	SRP-1003	Investigational RNA Interference (RNAi) Therapeutic	DM1					r(CUG) of DMPK	Sarepta News		

Genetische
therapieën

www.myotonic.org

MYOTONE DYSTROFIE
EXPERTISECENTRUM

Genetische therapieën



Wat te verwachten?

- Geen genezing
- Herhaalde behandeling nodig via infuus
- Effect kan per patiënt verschillen
- Effect kan per orgaan verschillen
- Lange termijn effect en veiligheid onzeker

Nederland

- NL doet mee aan internationale geneesmiddelenonderzoeken
 - Maastricht UMC en Radboudumc Nijmegen
 - Per onderzoek beperkt aantal deelnemers
 - Iedere studie heeft eigen criteria voor deelname
 - Niet in aanmerking voor studie A betekent niet automatisch dat studie B ook niet mogelijk is

Criteria voor onderzoek

- Inclusie criteria: Hier **MOET** de deelnemer aan voldoen
- Exclusie criteria: Hier **MAG** de deelnemer **NIET** aan voldoen

Wanneer weten we meer?

- Eind 2026 eerste 'topline' resultaten van fase 3 trial verwacht
- Daarna volgt beoordelingproces
- Komende jaren resultaten van meerdere studies verwacht

Take home

- Wereldwijd meer onderzoek gaande naar DM1 dan ooit tevoren
- Huidige therapieën geen genezing, met name gericht op schadelijke RNA
- Elk onderzoek, wat er ook uitkomt, brengt ons een stap dichterbij
- Er komen nog veel medicijnonderzoeken aan, we hebben jullie nodig!

Thank you for your attention!

Want to know more
about our expertise
center?

