

Cel & Gentherapie

We reimagine medicine: we introduceren baanbrekende innovaties in cel- en gentherapie

Een grote sprong voorwaarts voor de moderne geneeskunde

De medische wereld is het erover eens: cel- en gentherapie is een baanbrekende innovatie in de moderne geneeskunde. Met cel- en gentherapie kunnen patiënten steeds sneller, beter en gericht behandeld worden met vaak slechts een eenmalige behandeling. Deze behandelingen zijn gebaseerd op inzichten uit jarenlang zorgvuldig klinisch onderzoek, dat verder bouwt op tientallen jaren wetenschappelijke vooruitgang.

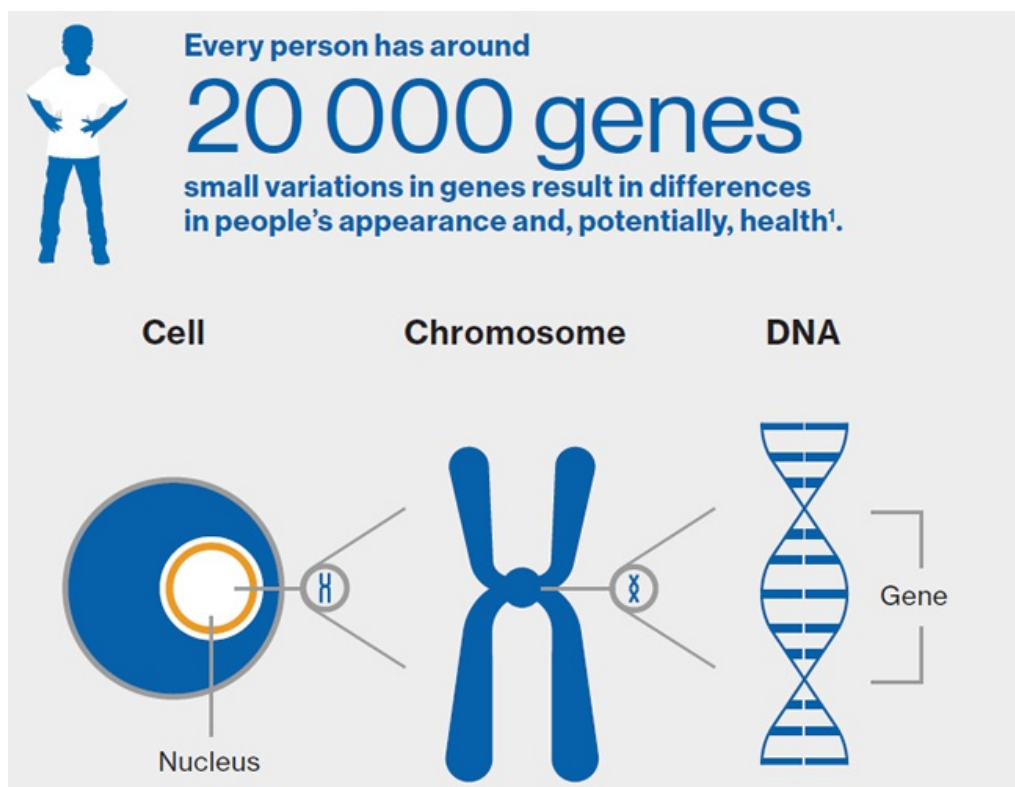
- Wat is cel- en gentherapie?
- Wat maakt cel- en gentherapie nu zo uniek?

Chemotherapie en antibiotica waren in hun tijd baanbrekende wetenschappelijke ontdekkingen en nu kunnen we daar ook cel- en gentherapie aan toevoegen. Cel- en gentherapieën zijn een nieuw keerpunt in de geneeskunde van de 21e eeuw door de innovatieve manier waarop we genetische aandoeningen kunnen behandelen.

Wat zijn cellen en genen?

Cellen zijn de bouwstenen waaruit alle levende wezens bestaan en bevatten een celkern waarin onze chromosomen liggen. Chromosomen zijn lange strengen bestaande uit DNA waarop onze genen liggen. Genen bevatten de instructies om eiwitten aan te maken. Eiwitten zijn op hun beurt weer essentieel om de verschillende weefsels in ons lichaam op te bouwen en te onderhouden

Elke mens heeft ongeveer 20.000 verschillende genen en van elk gen twee kopieën – één chromosoom van elke ouder. Kleine variaties in de genen zorgen bijvoorbeeld voor verschillen in het uiterlijk, maar ook in de gezondheid van mensen.



Wat zijn genetische aandoeningen?

Genetische aandoeningen ontstaan wanneer één gen, een belangrijk deel ervan of een volledig stuk DNA defect,
 2/6

vervangen, gewist of gedupliceerd is. Deze veranderingen worden ook wel genetische mutaties genoemd. Sommige ernstige genetische aandoeningen die veroorzaakt worden door genetische mutaties, zijn erfelijk.

Hoe kunnen cel- en gentherapieën helpen bij de behandeling van genetische aandoeningen? Beide therapieën hebben als doel om deze aandoeningen te behandelen, te voorkomen, en indien mogelijk te genezen. Zowel cel- als gentherapie hebben elk op hun eigen manier het potentieel om de onderliggende oorzaak van erfelijke en niet-erfelijke aandoeningen te verlichten of weg te nemen.

Het verschil tussen celtherapie en gentherapie



Cellen



Genen

Cellen en genen Celtherapie is een vorm van therapie, doorgaans een eenmalige behandeling, die ervoor zorgt dat het lichaam in staat wordt gesteld zichzelf te genezen. Bij celtherapie worden cellen buiten het lichaam vermeerderd of versterkt, zodat ze beter in staat zijn de beschadigde cellen in het lichaam te herkennen en bestrijden. Vervolgens worden de cellen opnieuw aan de patiënt toegediend. De cellen kunnen van de patiënt zelf zijn of van een donor.

Gentherapie behandelt aandoeningen door genen te veranderen, te vervangen, te inactiveren of toe te voegen. Bij gentherapie wordt nieuw DNA in de cellen van een mens gezet.

Hoe we de geneeskunde opnieuw uitvinden

Een voortrekkersrol spelen en verantwoorde risico's nemen zit in het DNA van Novartis. Daarmee staan we aan de basis van de meest baanbrekende innovaties binnen de gezondheidszorg. We gebruiken de laatste wetenschap om te vernieuwen en antwoord te geven op de meest uitdagende gezondheidsvraagstukken

waarmee onze maatschappij vandaag geconfronteerd wordt.

De ontwikkeling van cel- en gentherapieën is het resultaat van verschuivingen in het wetenschappelijke gedachtepatroon. De manier waarop we ziekten behandelen en voorkomen zijn altijd in verandering. Wij zien cel- en gentherapieën als een waardevolle toevoeging aan bestaande behandelmethodes.

Novartis is één van de grootste investeerders in cel- en gentherapie en we doen veel onderzoek hiernaar, ook in Nederland. De Europese autoriteiten hebben momenteel al drie cel- en gentherapieën van Novartis goedgekeurd binnen de therapeutische gebieden oncologie, oogheelkunde en zeldzame spierziekten.

Meer weten over medicijnontwikkeling in Nederland? Klik hier <https://www.novartis.com/nl-nl/over/klinisch-onderzoek>



De ontwikkelingen op het gebied van cel- en gentherapieën kunnen de geneeskunde mogelijk voor altijd veranderen. Patiënten met voorheen een ongeneeslijke genetische aandoening hebben hierdoor een nieuwe kans op behandeling of zelfs mogelijke genezing.

Wat cel- en gentherapieën zo uniek maakt, is dat ze niet enkel de symptomen verhelpen, maar een aandoening ook effectief een halt kunnen toeroepen of de genetische hoofdoorzaak van de aandoening kunnen aanpakken. Het zijn bovendien vaak eenmalige behandelingen, die de onderliggende oorzaak van een aandoening bij de bron aanpakken.

Hoe we de geneeskunde opnieuw uitvinden

Een voortrekkersrol spelen en verantwoorde risico's nemen zit in het DNA van Novartis. Daarmee staan we aan de basis van de meest baanbrekende innovaties binnen de gezondheidszorg. We gebruiken de laatste wetenschap om te vernieuwen en antwoord te geven op de meest uitdagende gezondheidsvraagstukken waarmee onze maatschappij vandaag geconfronteerd wordt.

De ontwikkeling van cel- en gentherapieën is het resultaat van verschuivingen in het wetenschappelijke gedachtepatroon. De manier waarop we ziekten behandelen en voorkomen zijn altijd in verandering. Wij zien cel- en gentherapieën als een waardevolle toevoeging aan bestaande behandelmethodes.

Novartis is één van de grootste investeerders in cel- en gentherapie en we doen veel onderzoek hiernaar, ook in Nederland. De Europese autoriteiten hebben momenteel al drie cel- en gentherapieën van Novartis goedgekeurd binnen de therapeutische gebieden oncologie, oogheelkunde en zeldzame spierziekten.

Meer weten over medicijnontwikkeling in Nederland? Klik hier <https://www.novartis.com/nl-nl/over/klinisch-onderzoek>

Samen nieuwe uitdagingen aanpakken

Samen met de andere partijen in de gezondheidszorg verkent Novartis alle aspecten die komen kijken bij het

introduceren van cel- en gentherapieën. Zo zijn we betrokken bij het bepalen van de standaarden van hoe patiënten en verzorgers ondersteund worden op het vlak van veiligheid en werkzaamheid. Door samenwerkingen aan te gaan met zorginstellingen, lokale gezondheidsautoriteiten en academische instellingen, zorgen we er samen voor dat de behandeling beschikbaar wordt voor patiënten.

Ons huidig gezondheidssysteem is niet afgestemd op eenmalige behandelingen

Het huidige gezondheidssysteem is er op dit moment vooral op gericht om chronische aandoeningen te behandelen met therapieën op regelmatig basis, vaak gedurende jaren of decennia. De kosten van deze behandelingen lopen op die manier bij elke nieuwe patiënt, en jaar na jaar, op. Eenmalige behandelingen met een langdurig, eventueel levenslang effect is het gezondheidssysteem van vandaag (nog) niet op voorbereid.

Positieve impact op het gezondheidsbudget en -systeem

Cel- en gentherapieën kunnen niet alleen het leven van patiënten en hun families ingrijpend veranderen. Op lange termijn kunnen dergelijke behandelingen, zelfs met een ogenschijnlijk hoge prijs, ook een positieve impact hebben op het Nederlandse gezondheidssysteem en -budget. Als patiënten met een eenmalige therapie geholpen kunnen worden, zal het gezondheidssysteem in de toekomst niet meer hoeven instaan voor chronische behandelingen en de kosten die daarmee gepaard gaan (hospitalisatie, aanvullende verzorging, gezinsondersteuning, etc.).

De kosten van een eenmalige cel- of gentherapie kan daarom het best vergeleken worden met de kosten van een levenslange chronische behandeling met geneesmiddelen en de totale levenslange gezondheidskosten van die patiënt voor het Nederlandse gezondheids- en sociale zekerheidssysteem. Eenzelfde vergelijking gaat bijvoorbeeld op voor het kopen van een huis versus levenslang huren: de initiële kostprijs van een huis ligt hoog, maar is op lange termijn veel voordeliger dan levenslang huren.

Samen werken aan nieuwe vergoedingsmodellen

Het feit dat één enkele behandeling een levenslang effect kan hebben op de gezondheid van de patiënt, maakt cel- en gentherapieën uniek. Deze innovatieve behandelingen vereisen dan ook een nieuwe manier van vergoeden om ze bij de patiënt te brengen. We willen niet alleen nieuwe geneesmiddelen ontwikkelen, maar ook een voortrekkersrol spelen in de manier waarop we patiënten toegang kunnen geven tot innovatieve behandelingen. Daarom willen we samen met overheden, ziekenhuizen, artsen en verzekeraars werken aan nieuwe vergoedingsmodellen op basis van de effectieve doeltreffendheid.

Het op de markt brengen van cel- en gentherapieën vergt inspanning van alle betrokkenen. We moeten goed nadenken over de manier waarop we deze geneesmiddelen bij de juiste patiënt brengen. De tijd is rijp om nieuwe vergoedingsmodellen te verkennen en het huidige gezondheidszorgsysteem te herzien, ten behoeve van patiënten en hun families.

We staan ervoor open om in gesprek te blijven met de betrokkenen in het gezondheidszorgsysteem. Zo organiseren we in samenwerking met de belangenvereniging HollandBIO, de Rijksuniversiteit Groningen en enkele andere farmaceutische bedrijven stakeholderbijeenkomsten in de vorm van een maatschappelijk café. Klik hier voor het visiedocument:https://celengentherapieen.h5mag.com/cel-_en_gentherapieen_in_nederland_2020/cover.

Heb je vragen of opmerkingen, neem dan contact op met ons via info.nederland@novartis.nl.

Source URL: <https://prod1.novartis.com/nl-nl/over/cel-gentherapie>

1. <https://prod1.novartis.com/nl-nl/nl-nl/over/cel-gentherapie>
2. [#tabwat-is-cel-en-gentherapie-5106](#)
3. [#tabwat-maakt-cel-en-gentherapie-nu-zo-uniek-5111](#)
4. <https://prod1.novartis.com/nl-nl/nl-nl/node/14376>
5. <https://prod1.novartis.com/nl-nl/nl-nl/over/klinisch-onderzoek>
6. <https://prod1.novartis.com/nl-nl/node/14376/printable/print>
7. <https://prod1.novartis.com/nl-nl/node/14376/printable/pdf>
8. <https://prod1.novartis.com/nl-nl/nl-nl/node/14371>
9. <https://prod1.novartis.com/nl-nl/nl-nl/over/klinisch-onderzoek>
10. <https://prod1.novartis.com/nl-nl/node/14371/printable/print>
11. <https://prod1.novartis.com/nl-nl/node/14371/printable/pdf>
12. https://celengentherapieen.h5mag.com/cel-_en_gentherapieen_in_nederland_2020/cover
13. <mailto:info.nederland@novartis.nl>