# Elke patient met ALS participeert in een onderzoek…
# en andere vraagstukken..

Tommy Bunte, PA ALS Centrum NL
Dr. Esther Kruitwagen, revalidatiearts-onderzoeker

UMC Utrecht

30-09-2022 ALS Symposium

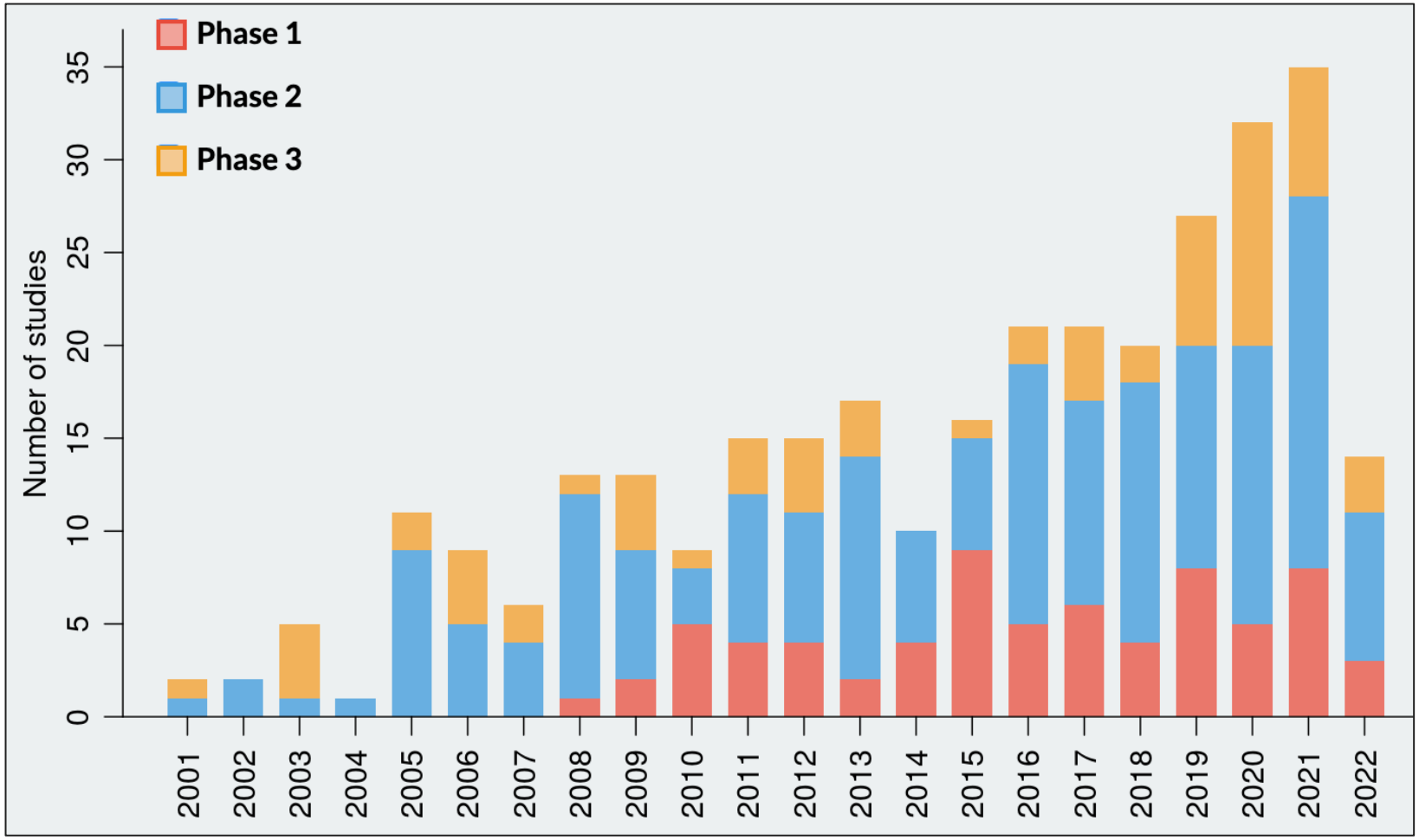
# TRICALS

TRICALS, onafhankelijk consortium bestaande uit vooraanstaande ALS-experts, patiënten, patiëntenverenigingen en ALS-stichtingen uit 15 landen. Samen hebben we één gemeenschappelijk doel: effectieve behandelingen vinden voor ALS, PSMA en PLS.

# Welke landen?

UMC Utrecht

# Medicijn onderzoek over de jaren




UMC Utrecht

Bron; https://clinicaltrials.gov; https://tricals.shinyapps.io/reactive/ (May 2022)

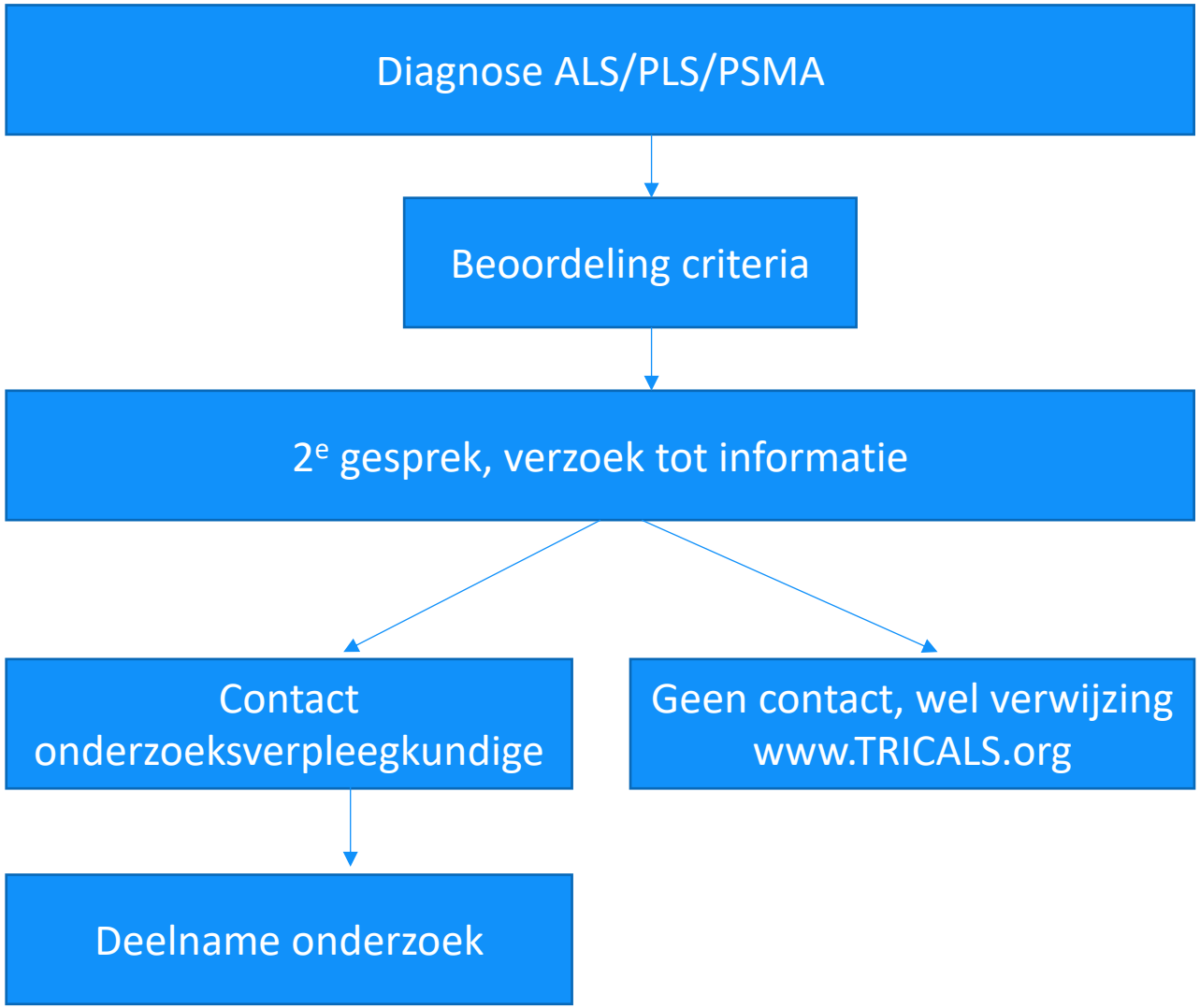
# Huidige medicijn onderzoeken in het UMC Utrecht

| Code | Stof | Fase | # Gescreened | # Screenfailures | # Gerandomiseerd | # Drop-outs | # Actief |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| FUSION | ION363 | 1 | | | | | |
| TUDCA | Tauroursodeoxycholic acid | 3 | 26 | 3 | 22 | 6 | 10 |
| 275AS101 | BIIB105 | 1 | 6 | 0 | 6 | 3 | 3 |
| WVE-004-001 | WVE-004 | 1 | 8 | 0 | 8 | 4 | 4 |
| MAGNET | Lithium | 3 | 34 | 28 | 6 | 1 | 5 |
| APL2-ALS-206 | Pegcetacoplan | 2 | 5 | 1 | 5 | 2 | 3 |
| DNL343 | DNL343 | 1 | 15 | 0 | 15 | 2 | 13 |
| MetFlex | trimetazidine | 2 | 2 | 1 | 2 | 0 | 2 |
| Phoenix | AMX0035 | 3 | 31 | 1 | 30 | 8 | 22 |
| CY5033 | Reldesemtiv | 3 | 10 | 2 | 8 | 0 | 8 |
| Adore | Edaravone | 3 | 20 | 1 | 19 | 0 | 19 |
| ACT 16970 | RIPK1 | 2 | 3 | 1 | 2 | 1 | 1 |

# Open voor deelname

| Code | Stof | Fase | # Gescreened | # Screenfailures | # Gerandomiseerd | # Drop-outs | # Actief |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| FUSION | ION363 | 1 | | | | | |
| TUDCA | Tauroursodeoxycholic acid | 3 | 26 | 3 | 22 | 6 | 10 |
| 275AS101 | BIIB105 | 1 | 6 | 0 | 6 | 3 | 3 |
| WVE-004-001 | WVE-004 | 1 | 8 | 0 | 8 | 4 | 4 |
| MAGNET | Lithium | 3 | 34 | 28 | 6 | 1 | 5 |
| APL2-ALS-206 | Pegcetacoplan | 2 | 5 | 1 | 5 | 2 | 3 |
| DNL343 | DNL343 | 1 | 15 | 0 | 15 | 2 | 13 |
| MetFlex | trimetazidine | 2 | 2 | 1 | 2 | 0 | 2 |
| Phoenix | AMX0035 | 3 | 31 | 1 | 30 | 8 | 22 |
| CY5033 | Reldesemtiv | 3 | 10 | 2 | 8 | 0 | 8 |
| Adore | Edaravone | 3 | 20 | 1 | 19 | 0 | 19 |
| ACT 16970 | RIPK1 | 2 | 3 | 1 | 2 | 1 | 1 |

# Patienten informeren



# Nieuwsbrief september 2022 - ALS Centrum Nederland

## Deelnemers gezocht voor medicijnstudies

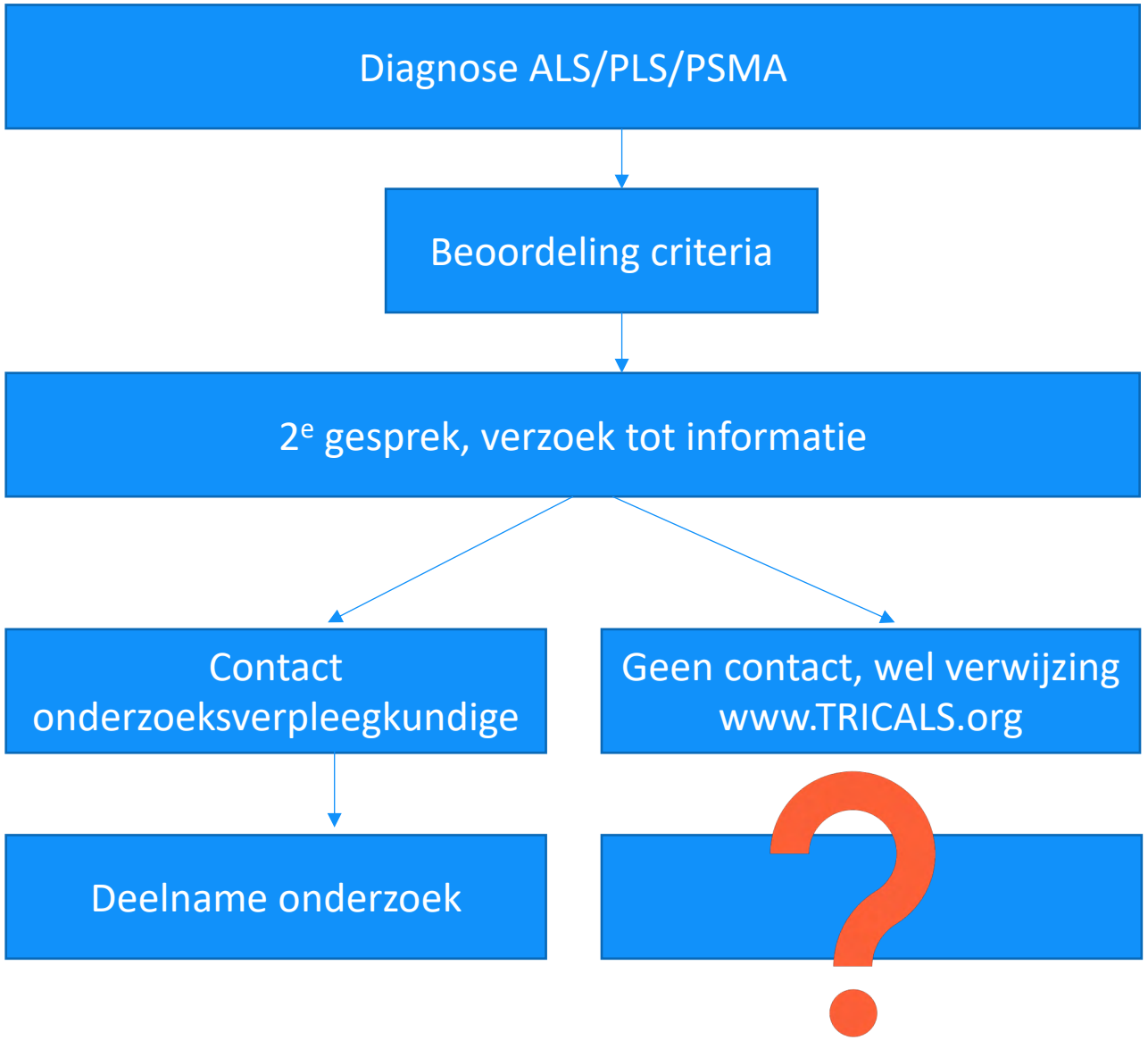
Momenteel lopen er in het ALS Centrum verschillende studies waarvoor we nog deelnemers zoeken! Onder andere voor de **Phoenix** en **Adore** studie zijn deelnemers nodig. Kijk op onze website voor een overzicht van alle lopende studies

**Overzicht studies**

## Deelnameperiode voor nieuwe deelnemers ADORE studie verkort van 72 naar 48 weken

De ADORE medicijnstudie heeft wereldwijd inmiddels meer dan 100 deelnemers met ALS. Zoals in het studieprotocol is beschreven, is de deelname aan het Adore onderzoek nu geen 72 weken meer, maar 48 weken. Voor nieuwe deelnemers aan de Adore studie zal deelname daardoor minder belastend zijn.

# Patiënten informeren



# Waarom wel of geen deelname aan medicijn onderzoek? Perspectief revalidatiearts

# Waarom wel of geen deelname aan medicijn onderzoek? Patiënt perspectief

*"Het geeft natuurlijk toch een soort hoop dat er mogelijk een middel is dat de ziekte vertraagt. Daarnaast vind ik het mooi om op deze manier mijn steentje bij te dragen aan wetenschappelijk onderzoek."*

# onderzoek? Patiënt persp

# Successen

## Enhanced Bulbar Function in Amyotrophic Lateral Sclerosis: The Nuedexta Treatment Trial

Richard Smith[1] · Erik Pioro[2] · Kathleen Myers[1] · Michael Sirdofsky[3] · Kimberly Goslin[4] · Gregg Meekins[5] · Hong Yu[6,7] · James Wymer[8] · Merit Cudkowicz[6,7] · Eric A. Macklin[6,7] · David Schoenfeld[6,7] · Gary Pattee[9]

RESEARCH SUMMARY

## Trial of Antisense Oligonucleotide Tofersen for *SOD1* ALS

Miller TM et al. DOI: 10.1056/NEJMoa2204705

CLINICAL PROBLEM

Approximately 2% of cases of amyotrophic lateral sclerosis (ALS) are associated with mutations in the gene encoding superoxidase dismutase 1 (SOD1), with toxic gain of function of the mutant SOD1 protein implicated in degeneration of anterior horn cells. Tofersen, an antisense oligonucleotide, was designed to reduce SOD1 synthesis, but its effects in patients with SOD1-mutated ALS are unknown

## Food and Drug Administration (FDA) keurt AMX0035 (Amylyx) goed op Amerikaanse markt

Gepubliceerd op 30 september 2022

Tijdens een vergadering van de FDA's Pheripheral and Central Nervous System Drugs Advisory Committee (PCNSDAC) op donderdag 29 september 2022, is het middel AMX0035 van farmaceut Amylyx goedgekeurd onder de naam RELYVRIO. Dat betekent dat het middel voor Amerikaanse staatsburgers beschikbaar is op de markt. Wat houdt deze goedkeuring in en wat betekent het voor patiënten hier in Nederland?

# Patiënten verwijzen of vragen over medicijn onderzoek?

## Trialals.umcutrecht.nl

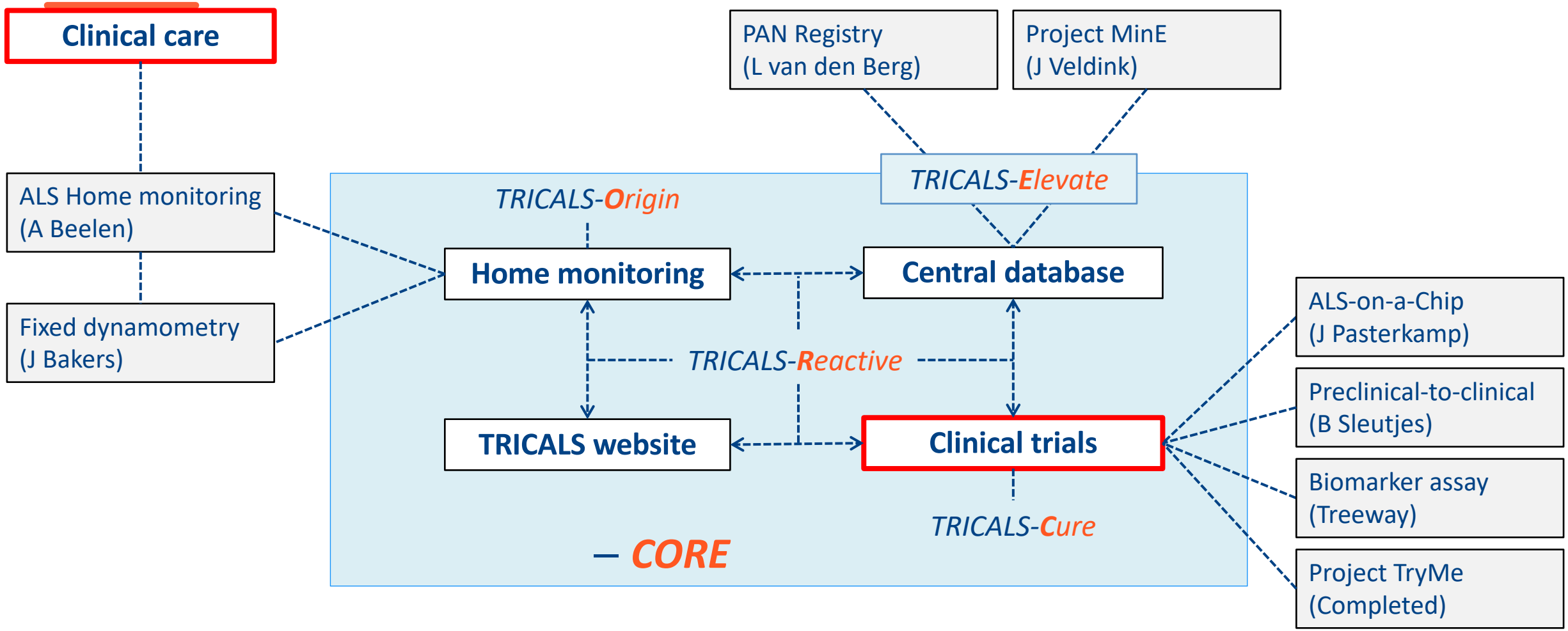
## Evaluatie: hoeveel doen mee = laag % !!

- Hoge eisen participatie
- Weinig verwijzingen/ weinig animo..
- Werkt de Nieuwsbrief?

## Barriers en Facilitators..

Ook bij de revalidatieartsen…

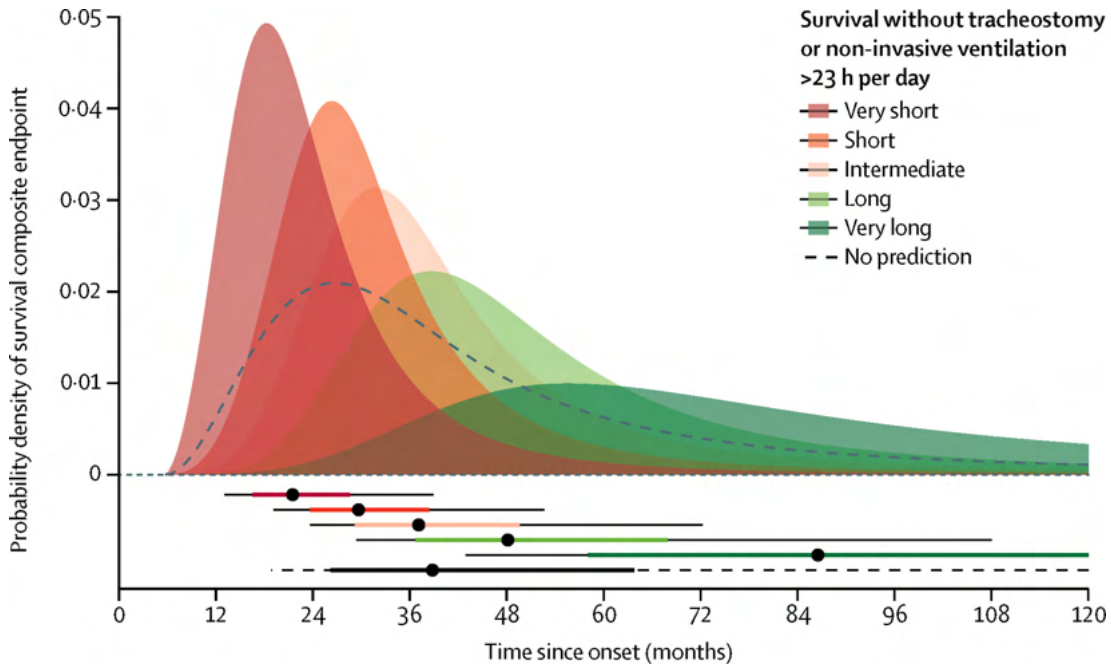
# Data-integratie




UMC Utrecht

# Topic 2

## Survival Predictiemodel



van Eenennaam RM, Koppenol LS, Kruithof WJ, Kruitwagen-van Reenen ET, Pieters S, van Es MA, van den Berg LH, Visser-Meily JMA, Beelen A. Discussing Personalized Prognosis Empowers Patients with Amyotrophic Lateral Sclerosis to Regain Control over Their Future: A Qualitative Study. Brain Sci. 2021 Nov 30;11(12):1597

**For many patients, quality of life matters more than quantity of time remaining**

Communication style
Personal factors
Regaining control

# Andere topics?

Rol APV ? Stichting ALS

Onderzoek Rineke

Toepassing behandelkader / Hoe gaat het met iedereen?

Nuedexta onderzoek.. Effect relateren aan verschil in stofwisseling
retrospectief
prospectief (nieuwe deelnemers aan protocol). Ook stoppers betrekken…

Diagnosedag: vragen?