

Het jaarlijks PKU overzicht door de Expertise Centra voor PKU UMC Groningen Amsterdam UMC locatie AMC



28 september 2019



Mogelijke belangen verstrengeling (conflicts of interest)

Advies

Committee's Sobi, Biomarin, Nutricia, APR, Arla Food Int., Eurocept, Lucane, Nestle-Codexis Alliance, Orphan Europe, Rivium Medical BV, Origin, Agios, Vivet

Subsidies via

industrie: Sobi, Biomarin, Nutricia, Alexion, Codexis, Vitaflo

Patienten

verenigingen: NPKUA, ESPKU, NPKUV, Tyrosinemia Foundation, Metakids, Stofwisselkracht

Organisaties: ESN, Friends of BKZ, UMCG

Consulten: Biomarin, Nutricia, APR, Orphan Europe, Pluvia Biotech

Betaald voor

presentatie: Biomarin, Nutricia, MendeliKABS

Financiële

belangen: Geen



umcg

Ontwikkelingen PKU in Nederland

Wereldwijde trial Pegvaliase (PEG-PAL) = Palynziq® afgezegd door Biomarin

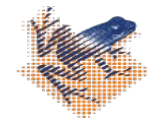
1. Behandeling met Palynziq® alleen mogelijk na goedkeuring door ZIN
2. Verwachting eind 2020, dan eerste tijd alleen in Expertise Centra

'Kwaliteitskenmerk' voor nieuwe eiwit substitutie producten
(=aminozurenmengsels) van start

Nieuwe aminozuurmengsels die getest gaan worden

Aspartaam project – lang gekoesterde wens

Eerste voorstellen voor verbeteringen European PKU guidelines voor gebruik Kuvan®



Ontwikkelingen PKU in wereld

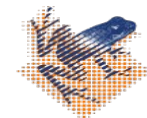
2 spelers in de markt voor de ontwikkeling van home monitoring device
(Aptatek Biosciences, Ego Health)

3 bedrijven met gentherapie trials (experimenteel, 1 nu naar fase 1 gaand)

1 bedrijf met een vorm van PAL dat met eten kan worden ingenomen (fase 2)

2 bedrijven die verbeterde Kuvan® (effectiever in meer patienten) willen testen

3 bedrijven die biologicals willen testen (verwerken evenals PAL fenylalanine)



The AA team

Clinic

Francjan van Spronsen
Terry Derks
Charlotte Lubout
Bruce Wolffenbuttel
Melanie van der Klauw

Laboratory metabolic diseases

Rebecca Heiner
Ronald Maatman

Dieticians

Foekje de Boer
Esther van Dam
Iris Rodenburg
Marieke Fokkert

Eddy van der Zee,
neurobiologist RUG

AmsterdamUMC locatie AMC

Annet Bosch
Carla Hollak
Corrie Timmer

Research Amino Acids

Francjan van Spronsen
Stephan Huijbregts, PhD
Melanie van der Klauw

PhD students

Karen Anjema
Danique van Vliet
Annemiek van Wegberg
Iris Rodenburg
Wiggert van Ginkel
Roeland Evers
Kimber van Vliet
Els van der Goot



Studying animals for processes
of learning and memory

2020 spannend jaar voor PKU

- Alleen expertise centra zitten aan tafel bij nieuwste ontwikkelingen
- Afspraak in Nederland is dat patiënten met metabole ziekten met enige regelmaat gezien worden in Expertise Centrum (voor PKU dus UMC Groningen en AMC)
- Research en trials alleen in EC om op die manier te zorgen dat research efficiënt plaatsvindt en voldoende is 'nagedacht'. Expertise kan op die manier ook nog verbeterd worden.
- in UMCG en AmsterdamUMC locatie AMC gaan daarom meerdere trials lopen met aminozurenmengsels en medicatie.
- Verwijzen naar EC kan altijd.

