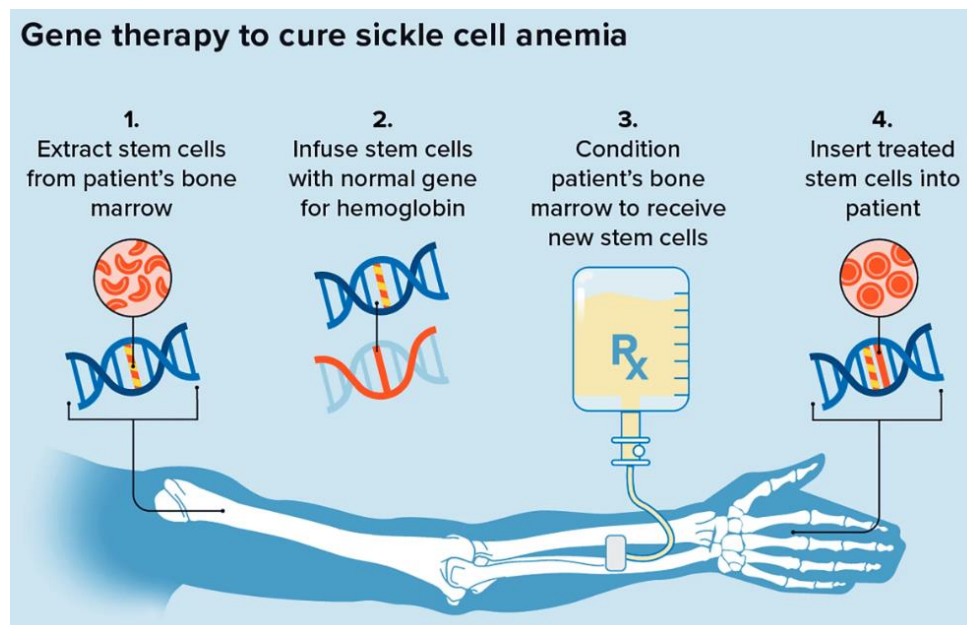


## News Alert

8 december 2023

### Eerste 'gene-editing' therapie goedgekeurd in VS en UK

Vandaag heeft de FDA 's werelds eerste 'gene-editing' therapie, Casgevy, goedgekeurd. Deze behandeling voor sikkelcelziekte (SCD) is gebaseerd op de Nobelprijs-winnende CRISPR/Cas9 technologie (Nobelprijs 2020) en ontwikkeld door Aescap portfoliobedrijven Crispr en Vertex. Dankzij deze techniek is het mogelijk om een defect deel van het DNA van een patiënt blijvend te corrigeren en een ziekte met één enkel infuus permanent te behandelen.



Casgevy is een CRISPR/Cas9 'gene-editing' therapie voor de behandeling van zowel SCD als bèta-thalassemie. De FDA-goedkeuring van Casgevy voor laatstgenoemde ziekte is gepland voor maart. In het Verenigd Koninkrijk is Casgevy al voor beide ziekten goedgekeurd. De EMA heeft een positief advies afgegeven en de goedkeuring wordt in het eerste kwartaal van 2024 verwacht.

Voorafgaand aan deze goedkeuring was een stamceltransplantatie van een passende donor de enige remedie voor deze ziekten. Deze optie is dan ook slechts voor een klein deel van de mensen beschikbaar. Indien zo'n donor niet

aanwezig is, dient de patiënt regelmatig bloedtransfusies te ondergaan. De ziektes hebben een grote negatieve impact op hun leven.

Casgevy is een 'one-and-done' behandeling die, zoals aangetoond in klinische studies, de noodzaak van transfusies voor patiënten sterk verminderde of zelfs volledig wegnam. De CRISPR-behandeling zorgt zowel voor een aanzienlijke verlaging van de kosten voor de gezondheidszorg als voor een verhoging van de levensverwachting van patiënten.

De verwachte jaaromzet voor Casgevy is \$ 4 miljard.