

# Dossier

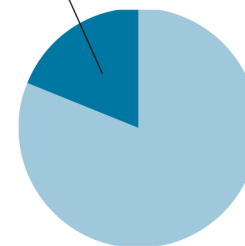
## WEESZIEKTEN & WEESGENEESMIDDELEN

TEKST > MARLEEN FINOULST EN AN SWERTS

### ENKELE CIJFERS

- Zeldzame ziekten komen voor bij minder dan 1 op de 2.000 Europeanen, ultra-zeldzame ziekten bij minder dan 1 op de 50.000. Momenteel zijn er 6.000 tot 8.000 zeldzame ziekten beschreven.
- 80% van de zeldzame ziekten heeft een erfelijke oorzaak, 75% treft kinderen.
- Bij 44% wordt eerst een andere diagnose gesteld, wat bij 75% leidt tot onaangepaste behandelingen.
- Vandaag zijn er slechts 140 weesgeneesmiddelen op de markt, veel te weinig om mensen met zeldzame ziekten te helpen. Steunmaatregelen zijn noodzakelijk om de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen te stimuleren.
- De bijdrage van de sterke biofarmasector bedraagt 3,67 miljard euro, wat veel meer is dan de kosten van het Riziv-geneesmiddelenbudget. (bron: Pharma.be 2017)

Daarvan gaan 93 studies over weesgeneesmiddelen.



**498 goedgekeurde klinische studies in België in 2017.**

### IN BELGIË WORDEN VEEL INSPANNINGEN GELEVERD

voor het ontwikkelen van weesgeneesmiddelen. Ongeveer 1 op 5 klinische studies gaat hierover.

### ◀ GETUIGENIS ▶

“ Je staat er niet alleen voor! ”

Gerda (62) heeft naar eigen zeggen geluk, want de ziekte van Pompe kan ook harder toeslaan. Wat hielp en helpt haar door moeilijke periodes?

**A**ls kind miste ze lenigheid en kracht. Later kwamen daar vermoeidheid, rugpijn en soms evenwichtsverlies bij. Op de leeftijd van 35 jaar kon ze haar job als chef van de fruit- en groenteafdeling in een supermarkt fysiek niet meer aan. Haar huisarts schreef herhaaldelijk ziekteverlof voor, maar verwees niet door. Via een specialist fysische geneeskunde kwam ze terecht bij een neuroloog, die uiteindelijk de diagnose stelde: ziekte van Pompe, een zeldzame progressieve neuromusculaire aandoening. “Een hard verdict”, getuigt Gerda (62). “Volgens mijn arts zou ik in een rolstoel belanden. En de enige andere Pompepatiënte bekend in het ziekenhuis was een oudere dame met een tracheostoma.” “Dat ik na mijn diagnose weer aan het werk kon, gaf mijn zelfbeeld en mijn veerkracht een boost. Uiteindelijk heb ik nog 23 jaar kunnen werken. Weliswaar niet voltijds, en niet in dezelfde functie, wel als kassierster. Een rolstoel heb ik nog altijd niet nodig. Ik heb het

geluk dat mijn ziekte zich gestabiliseerd heeft. Dat heb ik mede te danken aan het tweewekelijkse infuus met het geneesmiddel dat ik nu al 11 jaar krijg.” “Waaruit ik ook kracht en moed put, is het contact met lotgenoten”, gaat Gerda voort. Als verantwoordelijke van de diagnosegroep ziekte van Pompe van de patiëntenvereniging Spierziekten Vlaanderen geeft ze lotgenoten graag deze boodschap: “Aarzel niet om ons te contacteren met praktische vragen over bijvoorbeeld tegemoetkomingen, terugbetalingen en hulpmiddelen. Voel je ook welkom op onze lotgenoten- en informatieve bijeenkomsten. Je staat er niet alleen voor.” Haar hoop voor de toekomst? “Dat we nog meer lotgenoten – die elkaar als geen ander begrijpen – met elkaar in contact kunnen brengen. En dat zeldzame ziekten nog meer in de kijker komen, want goed geïnformeerde medemensen geven beter aangepaste steun.” ■

\* VOOR DE SAMENSTELLING VAN DIT DOSSIER GING BODYTALK GESPREKKEN AAN MET EXPERTEN EN MET SANOFI GENZYME, EEN BELANGRIJKE SPELER OP DE MARKT VAN DE ONTWIKKELING VAN WEESGENEESMIDDELEN. DE INHOUD VAN DIT DOSSIER VALT ONDER DE VERANTWOORDELIJKHEID VAN DE REDACTIE.

MEER INFO: SPIERZIEKTENVLAANDEREN.BE  
FRANSTALIGE ZUSTERVERENIGING: ABMM.BE  
(ASSOCIATION BELGE CONTRE LES MALADIES NEURO-MUSCULAIRES)

# WEESZIEKTEN VRAGEN EEN ANDERE AANPAK

In België lijden 660.000 tot 880.000 patiënten aan een weesziekte. In de Europese Unie gaat het over 27 tot 36 miljoen mensen. Elk van die aandoeningen mag dan wel zeldzaam zijn, alles bij elkaar gaat het over een grote groep mensen. Mensen die we niet uit het oog mogen verliezen.

TEKST > MARLEEN FINOULST

**A**conitasedeficiëntie, ferroportine-ziekte, MacDuffiesyndroom... Nog nooit van gehoord? Het zijn slechts enkele voorbeelden van de naar schatting 6.000 tot 8.000 weesziekten, waarvan een groot aantal is opgelijst op de portaalsite voor zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen (Orpha.Net). Het zijn vaak aandoeningen met ernstige symptomen en geen enkele behandeling. De ontwikkeling van medicijnen voor weesziekten (weesgeneesmiddelen) is duur, tijdrovend en de markt is uitermate klein. Mede daarom gebeurde in het verleden amper onderzoek naar de ziekten. Dankzij de Europese wet op de weesgeneesmiddelen, sinds 2000 in voege, worden bedrijven gestimuleerd om in te zetten op weesziekten. Dat heeft vruchten afgeworpen. Vandaag zijn er zo'n 140 weesgeneesmiddelen op de Europese markt, en het Europees Geneesmiddelen Agentschap hoopt het aantal tegen 2020 tot 200 geneesmiddelen op te krikken. Geen 'booming business' en nog steeds veel te weinig, maar wel een hoopvol begin.

Omdat er veel onwetendheid over weesgeneesmiddelen bestaat, bracht Bodytalk enkele experts rond de tafel voor een gesprek: professor David Cassiman (metabole ziekten UZ Leuven), Bernard Delaey en Adeline Boucher, beiden verantwoordelijk voor regulatory affairs bij Ablynx (sinds kort



onderdeel van Sanofi), en Stéphane Vandendael, general manager van Sanofi Genzyme.

## MOEILIJKE DIAGNOSE

“De tijd die verstrijkt tussen het begin van de klachten en de uiteindelijke diagnose van een zeldzame ziekte duurt soms 10, 20 jaar”, steekt prof. David Cassiman (UZ Leuven) van wal. “Dat is een groot probleem. Het duurt lang vooraleer een arts in die richting denkt, want artsen zijn getraind om eerst aan courante diagnoses te denken. De correcte diagnose komt er doorgaans na veel zoeken en multidiscipli-

nair overleg.” Artsen zijn niet vertrouwd met de ziektebeelden, en dat mogen we hen niet kwalijk nemen. “Het is onmogelijk om de duizenden weesziekten uitgebreid te belichten in de opleiding geneeskunde”, klinkt het. “Bovendien zijn de meeste zo zeldzaam, dat een arts nooit vertrouwd kan zijn met de ziektebeelden. En artsen weten echt niet alles.” Daarom werden in Europa referentienetwerken gecreëerd rond weesziekten: via virtuele systemen wordt kennis en expertise uitgewisseld als aan bepaalde weesziekten gedacht wordt. Het Belgisch Plan Zeldzame Ziekten,



**De tijd die verstrijkt tussen het begin van de klachten en de uiteindelijke diagnose van een zeldzame ziekte duurt soms 10, 20 jaar.**



uitgewerkt door de Koning Boudewijnstichting in opdracht van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid (L.Onkelinx), bestaat uit 20 acties in 4 domeinen, waaronder het verbeteren van de diagnostiek en de informatie aan de patiënt door het oprichten van expertisecentra rond zeldzame ziekten. Ondanks heel wat inspanningen blijft de laattijdige diagnose van een individuele patiënt een pijnpunt. “Neem nu mensen met acquired TTP of aTTP (verworven trombotische trombocytopenische purpura)”, zegt Bernard Delaey van Ablynx. “Dat is een zeldzame levensbedreigende ziekte waarbij bloedstolsels ontstaan in de kleine bloedvaten, met ernstige problemen, zoals orgaanfalen en blijvende hersenschade, als gevolg. Als in de eerste dagen na het ontstaan van de symptomen geen correcte diagnose gesteld wordt, dan kan de ziekte fataal aflopen”.

## BELGIË OP DE VOORGROND

De Belg Christian De Duve (1917-2013) ontving in 1974 de Nobelprijs voor Geneeskunde voor zijn ontdekking van enkele belangrijke celorganellen, waaronder de lysosomen. Lysosomen zijn blaasjes die zich in de cellen bevinden. Ze vergaren afvalstoffen van de cellen en breken die vervolgens af met lysosomale enzymen die ze importeren. Er zijn ziekten waarbij die lysosomen niet goed functioneren, waardoor afbraakstoffen zich opstapelen in de cellen, met uiteenlopende ernstige ziektebeelden tot gevolg. Deze groep ziekten noemt men lysosomale stapelingsziekten. Er zijn er een 50-tal beschreven, waaronder de ziekte van Pompe, de ziekte van Gaucher, de ziekte van Fabry..., telkens genoemd naar de arts die ze als eerste identificeerde. Lysosomale stapelingsziekten zijn aangeboren en zeer zeldzaam (bij 1 op de 60.000 tot 1 op de 250.000 geboorten) én behoren tot het onderzoeksdomein van het farmaceutisch bedrijf Sanofi.

“Bij Sanofi doen we sinds de jaren 80 onderzoek naar behandelingen voor lysosomale stapelingsziekten”, vertelt Stéphane Vandendael. Sanofi ontwikkelde als eerste levensreddende enzymvervangende medicijnen voor enkele

van deze aandoeningen. “Naast onze eigen research naar weesgeneesmiddelen kijken we steeds naar nieuwe technologieën die andere bedrijven, doorgaans biotechbedrijven, in dit domein ontwikkelen”, vervolgt hij. “We gaan na hoe we de expertise kunnen bundelen, onder andere door overnames.” De ontwikkeling van weesgeneesmiddelen bij Sanofi (dat ook in andere domeinen actief is) werd na de overname van het biofarmabedrijf Genzyme ondergebracht bij Sanofi Genzyme (zie verder in dit dossier: de biologische weesgeneesmiddelen bij Sanofi in Geel).

### UNIVERSITEIT ALS PARTNER

Weesgeneesmiddelen kun je niet in je eentje ontwikkelen; ze zijn in de regel erg complex. “Er is een kruisbestuiving nodig tussen biotechbedrijven, academische centra, big farma en de gemeenschap”, zegt David Cassiman. “Het basisonderzoek gebeurt vaak aan de universiteiten. Toepassingen of nieuwe therapieën, gebaseerd op dat basisonderzoek, worden uitgewerkt in biotechbedrijven of kleine start-ups, maar de weg van een beloftevolle molecule naar een voor patiënten beschikbaar weesgeneesmiddel is zeer complex en tijdrovend. Er moeten onder andere klinische studies worden opgezet, die aan strenge criteria moeten voldoen, er moet een registratiedossier worden ingediend, het medicijn moet op grote schaal geproduceerd worden en wereldwijd verdeeld worden, enzovoort. Dingen waarvoor big farma de nodige knowhow in huis heeft. Het is een biotoop waarin je de verschillende spelers nodig hebt.”

Voor weesgeneesmiddelen betekent het opzetten van een klinische studie doorgaans dat er internationaal gerekruteerd wordt, want het vinden van voldoende patiënten met een welbepaalde zeldzame ziekte vormt een groot probleem. “Er komt heel veel kijken bij het juist uitvoeren van een klinische studie voor weesgeneesmiddelen”, onderzocht Bernard Delaey. “Patiënten worden in hun land, in een centrum met expertise over hun ziekte, behandeld met het nieuwe product en zeer nauw opgevolgd”, vult Adeline Boucher aan. “De gegevens die gegenereerd worden, moeten voldoen aan de vereisten die verschillende overheden opleggen.” Delaey licht toe met een voorbeeld. “Een klinische studie voor het geneesmiddel voor aTTP was voorzien bij 110 patiënten wereldwijd, maar na 3 jaar zoeken hebben we de studie bij 75 patiënten stopgezet. 9 van hen namen deel in 4 Belgische ziekenhuizen. Telkens als een patiënt gevonden werd die aan de deelnamecriteria

voldeed, werd die in de studie opgenomen en kon de behandeling starten. Omdat deze eerste studie beloftevolle resultaten gaf en de medicatie levensreddend kan zijn, vonden we veel makkelijker patiënten voor de volgende fase in het klinisch onderzoek.”

De patiëntenaantallen voor klinisch onderzoek naar weesgeneesmiddelen blijven hoe dan ook erg klein in vergelijking met die voor klinisch onderzoek naar pakweg een bloeddrukverlager, wat het extra moeilijk maakt om een effect aan te tonen. Het is evenmin evident om eindpunten te bepalen: wat moet er precies verbeteren met het nieuwe middel? Hoe ga je evalueren of je medicijn de ziekte gunstig beïnvloedt als je het natuurlijke verloop niet kent, want in veel gevallen bestaat er weinig onderzoek naar de ziekte zelf. Dat moet dan bijkomend onderzocht worden. “Doorgaans worden ook bijkomende opvolgstudies gepland, maar dan zonder placebogroep”, zegt Adeline Boucher. “En alle informatie verzameld in onderzoek met weesgeneesmiddelen wordt bijgehouden in registers.”

### TEVREDEN PATIËNTEN



**WEESGENEESMIDDELEN KUN JE NIET IN JE EENTJE ONTWIKKELLEN;** ze zijn in de regel erg complex. “Er is een kruisbestuiving nodig tussen biotechbedrijven, academische centra, big farma en de gemeenschap”, zegt David Cassiman.



## Het doel van de EU is om tegen 2020 ongeveer 200 weesgeneesmiddelen op de markt te hebben. Maar ondanks de Europese stimulansen blijft het ontwikkelen van weesgeneesmiddelen een riskante onderneming.

De ontwikkeling van een weesgeneesmiddel is altijd een goede zaak voor de patiënten zelf. “Plots wordt onderzoek verricht naar hun aandoening, wat erg belangrijk is voor hen”, stelt Cassiman. “Ze worden gedetecteerd en opgevolgd. De patiënten zelf vinden dat fantastisch.” Patiënten met weesziekten zijn erg supportief voor onderzoek naar weesgeneesmiddelen en bovendien zeer realistisch in hun verwachtingen, blijkt uit een bevraging. “Als onderzoeker in zeldzame ziekten vind ik het zeer motiverend medicijnen voor deze mensen te kunnen ontwikkelen”, vertelt Bernard Delaey. “We krijgen veel feedback van zowel patiënten als artsen.” Dat beaamt Stéphane Vandendael: “Het gevoel mensen met zeldzame ziekten te kunnen helpen, is een belangrijke drijfveer. Ons valt de dankbaarheid ook op.” “Voor weesgeneesmiddelen is de afstand tussen industrie en patiënten inderdaad veel kleiner dan voor andere geneesmiddelen”, ondervindt Cassiman. “Je treft ze vaak ook samen op dezelfde congressen. Doorgaans kleine congressen, omdat weinig artsen met hun ziekte bezig zijn.”

### GEREGELDE STIMULANSEN

Voor er wetgeving was rond weesgeneesmiddelen (de eerste, de Amerikaanse ‘orphan drug law’, dateert van 1983, de Europese van 2000), bestond er weinig interesse voor het ontwikkelen van weesgeneesmiddelen: veel te duur voor een zeer beperkte afzetmarkt. Er waren steunmaatregelen nodig voor bedrijven om weesgeneesmiddelen te kunnen ontwikkelen, zoals een periode van marktexclusiviteit (10 jaar in Europa) en reductie van registratiekosten. Dankzij die wetgeving is het aantal nieuwe middelen sterk gestegen: momenteel zijn er meer dan 140 geautoriseerd in Europa. Het doel van de EU is om tegen 2020 onge-

veer 200 weesgeneesmiddelen op de markt te hebben. Ondanks de Europese stimulansen blijft het ontwikkelen van weesgeneesmiddelen een riskante onderneming. Cassiman: “Zeer veel studies naar weesgeneesmiddelen falen. Er gaan miljarden op aan onderzoek dat soms niets oplevert. Als een product wel de markt bereikt, moeten de kosten ergens gerecupereerd worden. Nieuwe biotechnologieën zoals genterapie, celtherapie, enzymtherapie, enzovoort zijn zeer duur. Vaak is dat het enige wat mensen over weesgeneesmiddelen weten.”

### PLEIDOOI VOOR EEN ECONOMISCH IMPULSBUDGET

Het budget voor geneesmiddelen in België bedraagt in totaal iets meer dan 4 miljard euro. Maximaal 10% (zo’n 400 miljoen euro) daarvan gaat naar weesgeneesmiddelen. Farmaceutische bedrijven investeren echter miljarden in onderzoek naar weesgeneesmiddelen en hebben daarom een groot maatschappelijk-economisch belang, zeker in België. Daarom pleit David Cassiman voor een vernieuwende aanpak. “Om de publieke steun voor de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen te vrijwaren, moeten we anders gaan kijken naar de kosten ervan. Nu betalen zowel de industrie als de gemeenschap via de universiteiten voor basisonderzoek. De verdere ontwikkeling van nieuwe therapieën wordt vooral gefinancierd door investeerders die de biotech en de farmabedrijven van geld voorzien. Maar ook de gemeenschap draagt bij via de specifieke regelgeving voor de terugbetaling van weesgeneesmiddelen. De weesgeneesmiddelen die uiteindelijk de markt bereiken, worden betaald met het budget van de gezondheidszorg, terwijl ze meer zijn dan gewoon medicijnen. Ze vertegenwoordigen namelijk een heel economisch systeem, dat een enorm maatschappelijk belang heeft. Omdat naar de kosten van weesgeneesmiddelen gekeken wordt vanuit het eenvoudige perspectief van het totale geneesmiddelenbudget, gebeurt het dat ze niet worden terugbetaald. Het is gek dat de gemeenschap basisonderzoek financiert, maar uiteindelijk weigert te betalen voor de weinige geneesmiddelen die daaruit voortvloeien. Men kan zich de vraag stellen of een economisch impulsbudget niet beter zou werken om zowel de knowhow en de research te financieren, als de eindproducten te betalen. Zo’n impulsbudget zou dan los kunnen staan van het strakke denken over de terugbetaling van geneesmiddelen dat heerst in de gezondheidszorg, en zou het economisch-maatschappelijk belang van de sector in rekening kunnen brengen. We moeten vermijden dat biotechnologiebedrijven wegtrekken uit België, want dan stimuleer je het basisonderzoek en onze kenniseconomie niet meer. België is een koploper in klinische studies en biotechnologie. Mensen beseffen dat te weinig.” ■

Veel weesgeneesmiddelen kunnen niet langs de klassieke, chemische weg geproduceerd worden. Dat maakt ze tot een grote uitdaging voor innovatieve bedrijven, want de ontwikkeling en productie op biotechnologische manier is doorgaans veel complexer en tijdrovender.

TEKST > AN SWERTS

**A**ls ziekten maar weinig patiënten treffen, maakt dat het onderzoek naar nieuwe therapieën, en het klinisch testen ervan, er niet gemakkelijker op. Daar komt nog bij dat veel weesgeneesmiddelen alleen ontwikkeld en geproduceerd kunnen worden langs biotechnologische weg. “Wat de uitdaging nog vergroot”, zegt communicatiemanager Liselotte Van de Castele. “Terwijl net weesgeneesmiddelen maar een beperkte doelgroep of ‘afzetmarkt’ hebben.”

#### VERNUFTIG SPEURWERK

De meeste zeldzame ziekten hebben een genetische oorsprong, en in veel gevallen houden ze verband met de mutatie van 1 gen. Achterhalen om welk gen het precies gaat en voor welk eiwit het gen de aanmaakcode bevat, vereist vernuftig speurwerk. Het genetische defect heeft vaak als gevolg dat patiënten een welbepaald cruciaal eiwit niet, onvoldoende of in gebrekkige vorm aanmaken, waardoor hun leven of hun levenskwaliteit in het gedrang komt.

Dat eiwit als therapie namaken is niet zo eenvoudig. Al zeker niet langs de klassieke, chemische weg. “Daarvoor zijn deze natuurlijke eiwitten of *biologicals* te groot en te complex”, legt Van de Castele uit. “Dat geldt ook voor de therapeutische eiwitten voor enkele zeer zeldzame lysosomale stapelingsziekten.” Hoe de productie ervan praktisch in zijn werk gaat, legt Van de Castele uit op de Belgische productiesite in Geel, waar onder meer het therapeutische eiwit voor de ziekte van Pompe wordt gemaakt.

#### GEEN TONNEN, MAAR KILO'S

“Aanvankelijk lieten we dat therapeutische eiwit door *transgene* konijnen aanmaken”, gaat Van de Castele van start. “Dus konijnen die waren ‘uitgerust’ met de menselijke genetische code voor het therapeutische eiwit, zodat we het konden ‘oogsten’ uit hun melk. Sinds 2001 gebruiken we geen konijnen meer, maar cellen van een cellijn die in 1957 uit het eierstokweefsel van 1 Chinese dwerghamster werd ontwikkeld. Via recombinante DNA-technologie krijgen deze cellen, zoals de konijnen voordien, het stukje menselijk DNA dat voor het therapeutische eiwit codeert. De gewijzigde cellen worden opgekweekt, verdeeld over ampullen en ingevroren ter be-



**STAPSGEWIJS WORDEN GEWIJZIGDE CELLEN** naar alsmat grotere bioreactoren overgebracht, tot ze uiteindelijk – ongeveer 1 maand later – in een productiebioreactor van zo'n 4.000 liter belanden.

#### ARENDSOGEN

Alleen als de cellen op die manier worden opgekweekt, maken ze de gewenste *biological* aan. “*Biologicals* hebben namelijk een zeer complexe structuur, waardoor er bij de productie soms verschillen in sluipe”, verduidelijkt Van de Castele. “We willen voorkomen dat er bij de productie eiwitten worden gevormd, zelfs in minieme hoeveelheden, die qua activiteit en veiligheid niet overeenkomen met de vereisten die aan het finale product worden gesteld. Om de patiënt een doeltreffend en veilig product te garanderen houden we dus onze productieparameters en interne controles binnen zeer nauwe marges.”

Het finale product is dus – in tegenstelling tot bij een chemische synthese – geen eenduidige molecule. Het is eerder een verzameling van moleculen die onderling kleine structurele verschillen vertonen én door hun complexe structuur niet eenvoudig te karakteriseren zijn. “Daarom kunnen we ook niet eenvoudig met een chemische analyse na het productieproces bewijzen dat ons product de gewenste activiteit, zuiverheid en veiligheid heeft. Dat moeten we veeleer bewijzen met zeer veel analyses – in aantallen en soorten – tijdens en na het productieproces. Op de Geelse site doen we meer dan honderd unieke soorten analyses op allerlei soorten stalen, waaronder grondstof-, water-, omge-

# DE ULTIEME UITDAGING? Biologische weesgeneesmiddelen!

waring. Voor elke nieuwe productierun van het geneesmiddel ontdooiden we zo'n ampul met enkele miljoenen identieke cellen. We brengen ze in een kweekfles met een voedingsoplossing, zodat ze kunnen groeien en zich vermenigvuldigen. Stapsgewijs brengen we ze over naar alsmat grotere bioreactoren, tot ze uiteindelijk – ongeveer 1 maand later – in een productiebioreactor van zo'n 4.000 liter belanden. De inhoud van de productiebioreactor wordt regelmatig 'geogst'. Maar de geogste vloeistof bevat behalve het gewenste therapeutische eiwit ook andere eiwitten en

stoffen. Die 'onzuiverheden' gaan er finaal nog uit via een reeks chromatografische en filtertechnieken.”

“Zo'n productierun neemt in totaal 3 maanden in beslag en levert slechts geringe hoeveelheden – kilogrammen – van het therapeutische eiwit op. Op die manier voorzien we de ongeveer 2.400 Pompe-patiënten wereldwijd van hun medicijn. Maar hiervoor moeten we dus wel 24 uur op 24 en 7 dagen op 7 'draaien', met ruim 600 mensen en een robuust productiesysteem, dat we speciaal voor dit ene weesgeneesmiddel ontwikkeld hebben.”

vings- en productstalen. We speuren onder meer heel nauwgezet naar eventuele biocontaminatie. Voor een van onze weesgeneesmiddelen nemen we concreet per *batch* op bijna 200 momenten in het productieproces stalen. Op het geheel van de stalen doen we in totaal meer dan 500 analyses. En alleen als alle resultaten aan de vooropgestelde specificaties voldoen wordt de *batch* vrijgegeven.”

“Het complexe productieproces gaat dus gepaard met een zeer extensieve kwaliteitscontrole”, besluit Van de Castele. “En hiervoor zetten we ons met de ruim 600 medewerkers van de site elke dag in. Dat we op die manier het leven van ongeveer 2.400 Pompe-patiënten over de hele wereld aanzienlijk verbeteren, maakt ons heel trots op wat we hier in Geel doen.” ■

IN BEELD? VIDEO 'PRODUCTIE VAN THERAPEUTISCHE EIWITTEN':  
WWW.SANOFI.BE/NL/UW-GEZONDHEID/ZELDZAME-AANDOENINGEN