

Genzyme

Dertig jaar wereldwijde baanbrekende innovaties

Al 30 jaar speelt Genzyme een baanbrekende rol in de ontwikkeling van therapieën voor zogenoemde 'weesziekten'. Recent is daar de focus op MS bijgekomen. De EMA goedkeuring in september van zowel Lemtrada™ (alemtuzumab) als Aubagio® (teriflunomide) voor de behandeling van patiënten met relapsing remitting multiple sclerose zijn hoogtepunten voor Genzyme die het succes van deze focus bevestigen. Vanuit het Europese hoofdkantoor in Naarden geven we het woord aan algemeen directeur Benelux Bert de Jong en medisch directeur Rob Melief.

Genzyme is één van 's werelds meest toonaangevende biotechnologiebedrijven. De producten en diensten van de onderneming richten zich op onder andere op de behandeling van zeldzame ziekten waaronder lysosomale stapelingsziekten die in Nederland naar schatting bij 1 op de 50.000 mensen voorkomen. Hiertoe behoren bijvoorbeeld de ziekten van Pompe, Fabry en Gaucher, en MPS I. Maar ook familiale hypercholesterolemie, waarvoor de galzuurbindende hars Cholestagel® werd ontwikkeld, is een aandachtsgebied binnen de zeldzame ziekten voor Genzyme. Jaarlijks worden enkele duizenden Nederlandse patiënten behandeld met Genzyme's producten als Cerezyme®, Fabrazyme®, Aldurazyme®, Myozyme®, Thyrogen® en Cholestagel®.

Enzymtherapie

'Genzyme richtte zich oorspronkelijk, zoals de naam al aangeeft, op behandelingen door middel van enzymtherapie,' legt Bert de Jong uit. 'Het basisprincipe van enzymtherapie is eenvoudig: het herstellen van de lysosomale enzymactiviteit door het toedienen van het enzym dat niet of onvoldoende werkzaam is. Genzyme produceert de enzymen door middel van celculturen uit de Chinese Hamster Ovary (CHO) cellijn. Met deze cellijn is veel ervaring opgedaan en daarom is dit het meest gebruikte platform voor de productie van therapeutische eiwitten, zoals insuline, groeihormonen, imiglucerase enz. Het juiste enzym wordt verkregen door het stukje menselijke DNA, dat verantwoordelijk is voor het te maken enzym, in te brengen in een CHO-celijn. De CHO-cellen worden gekweekt in grote tanks met voedingsstoffen en produceren daar de enzymen, die vervolgens worden geoogst en gezuiverd voor therapie.'

Was enzymtherapie ooit de basis, vanuit de passie voor wetenschap en innovatie in de afgelopen decennia ontwikkelde Genzyme een veelvoud aan nieuwe, baanbrekende behandelingen. Het huidige bedrijf heeft een unieke kennis en



expertise opgebouwd op het gebied van traditionele therapeutische moleculen, polymeren, enzym-, cel-, gen-, monoklonale en polyklonale therapie. Nu zijn daar dus de MS behandelingen Lemtrada™ en Aubagio®; geneesmiddelen die werden ontwikkeld binnen de nieuwe MS business unit. Lemtrada is een intraveneuze behandeling gedurende 5 dagen, die 12 maanden later wordt gevolgd door een intraveneuze behandeling gedurende 3 dagen. Aubagio is een 1x daags oraal in te nemen geneesmiddel voor mensen met MS.

Sterk door Sanofi

Het aandachtsgebied MS heeft mede een boost gekregen door de overname van Genzyme Corporation door het Franse Sanofi in februari 2011. 'We konden ons toen meer focussen op waar we goed in zijn,' vervolgt medisch directeur Rob Melief. 'Met de overname van Genzyme verwierf Sanofi een sterk groeiplatform in biotechnologie en werd Genzyme binnen het Franse concern het expertise centrum voor het ontwikkelen van geneesmiddelen bij zeldzame ziekten en MS-behandelingen. Anderzijds konden wij meer algemene trajecten (bijvoorbeeld die in de oncologie) overdoen aan Sanofi dat zich juist richt op oncologische innovaties. Die strategie heeft Genzyme de afgelopen jaren nog verder versterkt.'

De algemeen en medisch directeur van Genzyme Nederland besluiten het interview met een actualiteit die de gemoederen binnen, en ook buiten het concern de afgelopen jaren heeft beziggehouden: de eventuele stopzetting van de vergoeding van weesgeneesmiddelen voor de ziekten van Pompe en Fabry via het basispakket. 'Inmiddels heeft minister Schippers (VWS) haar besluit bekend gemaakt dat deze middelen vergoed zullen blijven worden. De afgelopen maanden heeft

het ministerie van VWS met veel verschillende betrokken partijen gesproken, zoals de behandelaren, fabrikanten en ook patiëntenverenigingen. De therapeutische meerwaarde van de behandelingen is duidelijk. In overleg met de verschillende partijen zijn afspraken gemaakt over een doelmatige en kostenbewuste inzet van de middelen, zodat het totale kostenbeslag van deze therapieën aanvaardbaar blijft. Genzyme is uiteraard erg blij voor de patiënten dat er nu eindelijk duidelijkheid is.'

Met een sterke portfolio aan nieuwe producten in verschillende stadia van ontwikkeling, zal Genzyme in de komende jaren blijven groeien, meer patiënten effectief kunnen behandelen en blijvend investeren in onderzoek en ontwikkeling. Voor meer informatie:

Genzyme Nederland
Gooimeer 10
1411 DD Naarden
Tel: +31 35 699 8600
www.genzyme.nl

Maatschappelijk betrokken

Genzyme is niet alleen een baanbrekende, maar zeker ook een zeer maatschappelijk betrokken organisatie. Zo wordt altijd stil gestaan bij de verschillende dagen waarop er aandacht gaat naar speciale ziekten of ziektebeelden waarbij Genzyme betrokken is. Bijvoorbeeld tijdens de Zeldzame Ziekten dag, wanneer patiënten, familie en onderzoekers bij elkaar komen. De afgelopen jaren hebben vrijwilligers van Genzyme tijdens deze dag meegeholpen met het kinderprogramma. En tijdens de World MS day konden collega's zelf ervaren hoe het nou is als je last hebt van "blurred vision", of moeite hebt met je evenwicht. Ook wordt er jaarlijks tijdens een teambuilding belangenloos gewerkt voor een project dat Genzyme aan het hart gaat. Afgelopen januari is er geholpen bij het opknappen van de nieuwe locatie en de verhuizing van een medisch kinderdagverblijf. Een hele gezellige dag, wat voor dit kinderdagverblijf een groot verschil maakte en voor collega's echt de betrokkenheid met de maatschappij in de praktijk onderstreept. □

genzyme
A SANOFI COMPANY