

Persbericht

15 februari 2022

Metakids en de Hersenstichting bundelen krachten tegen ziekte van Hunter 738.500 euro voor behandeling hersenaandoening bij jonge kinderen

Amsterdam, 15 februari 2022 – Metakids en de Hersenstichting investeren samen 738.500 euro in het onderzoek dat wordt uitgevoerd onder leiding van dr. Pim Pijnappel, verbonden aan Erasmus MC. Het doel is om een genterapiebehandeling te ontwikkelen voor de ziekte van Hunter. Deze metabole ziekte leidt tot ernstige hersenschade en dementie bij jonge kinderen, waardoor ze volledig afhankelijk worden van zorg en overlijden rond het 18-20e levensjaar.

Metabole ziekten, ook wel stofwisselingsziekten, worden veroorzaakt door een defect in het omzetten van stoffen in het lichaam door een enzym. De ziekte van Hunter ontstaat door een foutje in het DNA (het gen) dat codeert voor het IDS enzym. Uit eerder onderzoek is gebleken dat genterapie een veilige en effectieve behandeling is voor andere metabole ziekten, zoals MLD.

Pieter Brinkhorst, directeur van Metakids. “De onderzoekers willen nu kijken of ze deze kennis kunnen inzetten om ook een genterapie te ontwikkelen voor de ziekte van Hunter, ook wel MPSII. Alle erfelijke metabole ziekten beginnen in de genen. We hopen dan ook dat dit onderzoek een fundament legt voor een bredere uitrol van genterapie voor veel meer kinderen met een van deze vele ernstige ziekten.”

Merel Heimens Visser, directeur bestuurder van de Hersenstichting, vult aan: “Door onze krachten te bundelen kunnen we meer impact maken en hopelijk sneller een behandeling ontwikkelen voor de kinderen die hier in Nederland mee te maken hebben. De grote winst is dat deze techniek bij succes naar verwachting ook toe te passen is op andere (metabole) hersenaandoeningen.”

Het onderzoek

Genterapie is een medische behandeling die de genetische code, ook wel bekend als DNA, kan aanpassen. In het laboratorium worden speciale virussen gemaakt die het correcte stukje genetische code bij zich dragen. Deze virussen worden gebruikt om het correcte IDS-gen middels een beenmergtransplantatie in beenmergstamcellen te plaatsen. De beenmergcellen vormen zo een productiefabriek van het IDS-enzym in het eigen lichaam. Via het bloed bereikt het enzym de weefsels van het lichaam. De cellen kunnen ook de hersenen bereiken en daar geven ze het enzym af, zodat ook hersencellen worden behandeld.

Dit principe is toepasbaar voor de ziekte van Hunter, maar geeft ook hoop voor veel meer andere metabole ziekten. In het huidige onderzoek wordt er onderzocht hoe de genterapie op een betrouwbare manier gemaakt kan worden, zodat het bij de mens toegepast kan worden waarbij het zowel effectief als veilig is. Er wordt nauw samengewerkt in een team bestaande uit wetenschappers en artsen van het Erasmus MC en het LUMC.

Resultaten

De resultaten worden medio 2026 verwacht. Als het onderzoek succesvol is willen de onderzoekers de behandeling verder testen in een klinische trial voor patiënten met de ziekte van Hunter. Het



uiteindelijke doel is om de genterapie beschikbaar te maken voor patiënten voor een redelijke en transparante prijs via een niet-commercieel financieringsmodel.

Over de Hersenstichting

Meer dan 4 miljoen Nederlanders hebben een hersenaandoening. Hersenaandoeningen zijn helaas hard op weg de grootste ziekte van Nederland te worden. Dit moet stoppen. Want een hersenaandoening zet je leven op z'n kop. En vroeg of laat raakt het ons allemaal. Daarom zet Hersenstichting alles op alles voor gezonde hersenen voor iedereen. Om dat te bereiken, investeert de Hersenstichting in baanbrekende oplossingen. Oplossingen om de hersenen gezond te kunnen houden, hersenaandoeningen beter te behandelen en mensen met een hersenaandoening helpen mee te doen in de maatschappij. Om dat mogelijk te maken, financieren we innovaties en onderzoek, geven we voorlichting en zetten we het belang van onze hersenen op de publieke en politieke agenda. Kijk voor meer informatie: www.hersenstichting.nl.

Over Stichting Metakids

Metakids heeft als missie dat alle kinderen met een metabole ziekte tijdig behandeld worden. Dit doet Metakids door zoveel mogelijk aandacht te vragen voor metabole ziekten en geld in te zamelen voor onderzoek. Van de meer dan 1.500 ziekten is op dit moment slechts 15% behandelbaar. Dit geeft de keiharde conclusie dat veel kinderen met een metabole ziekte niet geholpen kunnen worden. Door onbekendheid komt diagnose vaak te laat, terwijl metabole ziekten juist in een zo vroeg mogelijk stadium opgespoord en behandeld moeten worden om aftakeling of een vroege dood te voorkomen. Kijk voor meer informatie op: www.metakids.nl

Noot voor de redactie, niet voor publicatie

Voor meer informatie kunt u contact opnemen met Georgette Bicker van Metakids, via g.bicker@metakids.nl of 0615090032