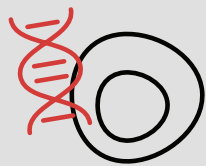


WAT IS GENTHERAPIE?

Wat is gentherapie?

Gentherapie is een innovatieve benadering voor de behandeling van aandoeningen door een nieuw, functionerend gen in het lichaam te introduceren, of door het uitschakelen of veranderen van het defecte gen dat de aandoening veroorzaakt.¹



Voordat het werkende gen aan de patiënt kan worden toegediend, is een methode nodig om het naar de cellen van de patiënt te transporteren.

Virussen worden gebruikt als transportmiddel (ook wel vector genoemd). Bij deze virussen is hun eigen genetisch materiaal vervangen door het gewenste, functionerende gen. De virussen brengen het functionerende gen naar de juiste cel in het lichaam. Deze vectoren kunnen geen infecties meer veroorzaken.²



Hoe wordt gentherapie toegediend?

Er zijn twee methoden voor de toepassing van gentherapie: het gen kan rechtstreeks aan de persoon worden toegediend via intraveneuze infusie (in vivo), of cellen die afkomstig zijn van de patiënt worden genetisch bewerkt buiten het lichaam en vervolgens teruggeplaatst (ex vivo).²



Als het functionerende gen in de specifieke cel aanwezig is, kan de gentherapie op verschillende manieren werken.²



Cel met defect gen

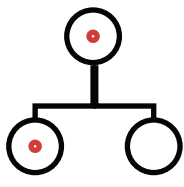


Genetische toevoeging:
het toevoegen van het werkende gen aan de specifieke cel, naast het bestaande verkeerde gen.



Genetische bewerking:
het invoegen, verwijderen of aanpassen van het bestaande gen om correct te functioneren..

Gentherapie bij hemofilie Met hemofilie B als voorbeeld

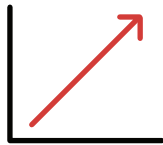


Hemofilie is een erfelijke bloedingsstoornis veroorzaakt door een fout in één specifieke gen, waardoor het een geschikte aandoening is voor gentherapie.

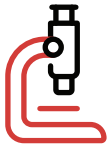
Hemofilie B wordt veroorzaakt door een tekort aan stollingsfactor IX.



Bij hemofilie B voegt de huidige gentherapie een functionele kopie toe van het stollingsfactor IX-gen. Het lichaam gaat vervolgens weer het correcte stollingsfactor IX aanmaken.³



Het doel van gentherapie voor hemofilie B is om met één toediening lange termijn voordelen te bieden, met een aanhoudend hoog stollingsfactorniveau om spontane bloedingen te verminderen of zelfs te voorkomen, zodat men niet langer routine levenslange FIX-infusies nodig heeft.^{4,5}



Er lopen meerdere klinische onderzoeken naar gentherapieën voor hemofilie B.⁶

References¹Miesbach W et al. How to discuss gene therapy for haemophilia? A patient and physician perspective. Haemophilia 2019;25:545 – 57. ²Prakash V et al. Current progress in therapeutic gene editing for monogenic diseases. Mol Ther 2016;24:465 – 74. ³Perrin G et al. Update on clinical gene therapy for hemophilia. Blood 2019;33(5):407 – 14. ⁴Batty and Lillicrap D. Hemophilia Gene Therapy: Approaching the First Licensed Product. Hemasphere 2021;5:e540 ⁵Doshi BS et al. Gene therapy for hemophilia: what does the future hold? Ther Adv Hematol 2018;9:273–293 ⁶Clinicaltrials.gov. Hemophilia B clinical studies. Available at: <https://www.clinicaltrials.gov/search?cond=Hemophilia%20B&aggFilters=status:act%20rec%20not&intr=gene%20therapy> [Accessed March 2024]