

Nieuws

4,7 Mln voor onderzoek naar Ziekte van Huntington, SCA1 en SCA3

4,7 Miljoen voor innovatief onderzoek van Nederlandse bodem naar de ziekte van Huntington en twee vormen van Spinocerebellaire ataxie (SCA's)

Op 18 maart 2022 maakte NWO bekend dat zij via het programma van de Nationale Wetenschapsagenda (NWA) een bedrag van 4,7 miljoen beschikbaar stelt voor innovatief onderzoek naar de Ziekte van Huntington en 2 vormen van Spinocerebellaire ataxie (SCA1 en SCA3).

Het NWA programma richt zich uitsluitend op uitdagende en richtinggevende vraagstukken die aansluiten op de kracht van de Nederlandse wetenschap en op de grote maatschappelijke uitdagingen van deze tijd. De toegekende financiering geeft aan de ene kant dus aan hoe hoog het niveau van de betrokken onderzoekers is, maar aan de andere kant ook de maatschappelijke urgente van de probleemstelling.

Het onderzoeksproject CureQ: Een persoonsgerichte aanpak en behandeling van erfelijke hersenziekten

Er zijn ruim tien erfelijke hersenziektes die allen veroorzaakt worden door eenzelfde type DNA-fout, waaronder de ziekte van Huntington en enkele erfelijke vormen van Spinocerebellaire ataxie waaronder SCA1 en SCA3. Dit zijn de zogeheten polyQ ziektes. Deze ziektes kunnen al op relatief jonge leeftijd ontstaan en leiden vaak snel tot flinke beperkingen. Tot op heden zijn er geen behandelingen die de ziektes stoppen of de achteruitgang kunnen remmen. Recent zijn de eerste hoopgevende onderzoeken gestart via ruggenprikken of een eenmalige toediening in de hersenen, om de aanmaak van de ziekte veroorzakende eiwitten te remmen. Maar deze behandelingen hebben ook geleid tot een aantal belangrijke nieuwe vragen en uitdagingen. Bijvoorbeeld: Kunnen we beter voorspellen wanneer de ziekte zich voor het eerst openbaart? Hiermee kan patiënten meer zekerheid geboden worden over wanneer zij ziek zullen worden, hetgeen hen kan helpen bij het maken van keuzes met betrekking tot invulling van hun werk, leven en kinderwens. Ook zal dit helpen met het beter plannen van het starten van een behandeling en het inschatten van welke patiënten het meest van de therapie zouden kunnen profiteren. En wat is eigenlijk het beste moment om met therapie te starten? Tenslotte is een belangrijke vraag of er ook andere behandelopties mogelijk zijn die de ziektes zouden kunnen vertragen zoals door het innemen van een pil.

Nederlandse onderzoekers, artsen, verschillende HBO opleidingen, ethici, biotechnologie bedrijven, patiëntenverenigingen en stichting Proefdiervrij zullen gezamenlijk deze vragen beantwoorden, met als doel het mogelijk maken van een persoonsgerichte aanpak en behandeling voor de ziekte van Huntington en enkele SCA's.

Diverse patiëntengroepen

De patiënten met deze hersenziektes worden onderverdeeld in drie groepen waarbij in de eerste groep de eerste tekenen van de ziekte zich openbaren op zeer jonge leeftijd, in de tweede groep op volwassen leeftijd en een derde groep niet altijd ziekteverschijnselen krijgt. Zowel de beginleeftijd van de ziekte als de uitingen van de ziekte zijn zeer verschillend voor deze drie groepen en het is waarschijnlijk dat deze groepen ook verschillende behandelingen vereisen. Beantwoorden van bovenstaande vragen vereist dus een zorgvuldige en gedifferentieerde aanpak

Consortium

Om alle vragen in één samenhangende studie (met de naam CureQ) te kunnen onderzoeken, besloten diverse organisaties de krachten te bundelen: onderzoekers en artsen van diverse Nederlandse universiteiten, verschillende HBO opleidingen, ethici, biotechnologie bedrijven, patiëntenverenigingen en stichting Proefdiervrij gaan samenwerken in deze studie, met als doel een persoonsgerichte aanpak en behandeling mogelijk te maken voor Huntington en enkele SCA's. Het totaalbudget van het onderzoek bedraagt € 5,5 miljoen, waarvan € 4,7 miljoen wordt gesubsidieerd door de Nederlandse Organisatie voor Wetenschappelijk Onderzoek. De beoogde doorbraken in nieuwe therapeutische strategieën gecombineerd met het gebruik van gekweekte hersencelmodellen van gendragers moet leiden tot persoonsgerichte behandelingen en perspectief voor risicodragers en gendragers maar ook hun familie.

Organisaties

- Amsterdam UMC
- Ataxie Vereniging Nederland
- Campagneteam Huntington
- Erasmus MC
- Hanze Hogeschool
- Hogeschool van Amsterdam
- Leiden UMC
- Maastricht UMC+
- Prinses Máxima Centrum
- Radboudumc
- Stichting Proefdiervrij
- UMC Groningen
- VectorY
- Vereniging van Huntington
- Vico Therapeutics

Voor alle deelnemers aan het consortium klik op....

Penvoerder namens het consortium

Prof. dr. E.A.J. (Eric) Reits - Amsterdam UMC Locatie AMC

