

# WINNAAR BIOMEDICAL SCIENCES 2022

OMNES PRO UNO

UNIVERSITEIT UTRECHT



‘OPU’S MISSIE: ERFELIJKE ZIEKTEN GENEZEN DOOR FOUTEN IN HET  
DNA TE CORRIGEREN VOORDAT ONHERSTELBARE SCHADE  
ONTSTAAT.’



04:14

---

## ONDERZOEKSFOCUS

Hoe kunnen we zeldzame genetische ziekten op een ethisch verantwoorde manier behandelbaar maken?

---

# EEN BEHANDELING OP MAAT VOOR GENETISCHE ZIEKTEN

Iedere dag worden in Nederland baby's geboren met een genetische afwijking. Zo hebben meer dan 10.000 gezinnen in ons land één of meerdere kinderen met

organen zoals het hart, de hersenen of het zenuwstelsel. Voor het merendeel van deze kinderen is er geen goede behandeling. Hierdoor overlijden zij vaak op jonge leeftijd.

Voor deze kinderen en hun families zet de onderzoeksgroep Omnes Pro Uno (OPU) van de Universiteit Utrecht al tien jaar alles op alles. Hun missie is om patiënten met een genetische ziekte te genezen door fouten in het DNA op te sporen en te corrigeren voordat er in het lichaam onherstelbare schade ontstaat. De vijf zeer getalenteerde onderzoekers beschikken over de expertise om de genbewerkingstechnieken die op dit moment in een razend tempo worden ontwikkeld te optimaliseren en op een veilige en verantwoorde manier toe te passen.

“Het team heeft de expertise om de genbewerkingstechnieken die in razend tempo worden ontwikkeld te optimaliseren en op een verantwoorde manier toe te passen”

van het menselijk lichaam zoals de darm, de lever, de hersenen en tumoren.

Met deze miniorganen hebben de onderzoekers zowel het complete genoom als de eigenschappen van het orgaan van een patiënt in handen. Dat maakt het mogelijk om nieuwe, vaak dure behandelingen en genetische technologieën op de organoïden te testen.

Dankzij het onderzoek van OPU kan tegenwoordig bijvoorbeeld een dure behandeling voor patiënten met taaislijmziekte eerst worden uitgetest op darmorganoïden in het lab. Werkt het daar, dan vergoedt de verzekeraar de daadwerkelijke therapie bij de patiënt. Ook bij kankerpatiënten kunnen via deze weg verschillende therapieën eerst worden uitgetest op minitumoren in het lab, waarna de succesvolste wordt toegepast. Datzelfde geldt voor veelbelovende behandelingen tegen SARS-Cov-2 die kunnen worden getest op organoïden van de luchtwegen. Deze baanbrekende resultaten bleven niet onopgemerkt, getuige de talrijke internationale publicaties in toonaangevende wetenschappelijke tijdschriften, de vele prestigieuze prijzen en tientallen jaarlijkse uitnodigingen voor lezingen wereldwijd.

Een wereldwijde primeur is dat het OPU lukte om als eerste ter wereld genetische foutjes van patiënten in de miniorganen te corrigeren met behulp van de nieuwste gentechnologieën. Nu dat gelukt is, is het team klaar voor de

kan krijgen om het lichaam aan te tasten. Het doel is om op een ethisch verantwoorde wijze voor vele verschillende zeldzame genetische ziekten een behandeling op maat te ontwikkelen.

Daarvoor is het nodig dat OPU het ‘gencorrectiegereedschap’ dusdanig weet te optimaliseren dat het niet alleen in het lab, maar ook in het lichaam van de patiënt zelf toepasbaar is. Als dat lukt zal de volgende uitdaging zijn om het gereedschap bij de juiste organen in het menselijk lichaam af te leveren en daar genetische fouten te corrigeren. De verwachting van de onderzoekers is dat de recente ervaring met mRNA-vaccins helpt om een vergelijkbare techniek te gebruiken voor de afgifte van het gencorrectiegereedschap in patiënten. Als de onderzoekers daarin slagen willen ze deze behandeling voor zo veel mogelijk genetische patiënten mogelijk maken.

“Hoever mag je gaan met genetische technieken en hoe ontwikkel je deze technieken veilig?”

zijn ethische overwegingen cruciaal. Hoever mag je gaan met genetische technieken en hoe ontwikkel je deze technieken veilig? Hoe kunnen de miniorganen op een verantwoorde manier worden gebruikt? Hoe kan wetenschappelijk onderzoek op een veilige maar snelle manier naar de patiënt worden gebracht? Dit is een aantal van de vragen die continu spelen in het wetenschappelijk werk van de OPU-onderzoekers. De perspectieven van stamcelbiologen, clinici, patiënten, beleidsmakers en ethici zijn onmisbaar voor een moreel verantwoorde toepassing van gentechnologie. Daarom betreft OPU deze perspectieven bij iedere fase van het onderzoek.

Wat het vijfkoppige OPU-team zo sterk maakt is dat de onderzoekers hun verschillende expertises – van moleculaire genetica tot biomedische technologie en ethiek – in alle onderzoeksfases ogenschijnlijk moeiteloos weten te integreren. Door hun krachten te bundelen brengen zij hun missie in de praktijk. De verbetering van de genetische technieken die de onderzoekers voor ogen hebben kan bovendien bijdragen aan andere vormen van genetisch onderzoek en nieuwe toepassingen, bijvoorbeeld bij andere ziekten of in de voedingsindustrie. De manier waarop OPU een brug weet te slaan tussen laboratoriumonderzoek en de klinische praktijk is buitengewoon en kan een



RUBEN VAN BOXTEL





ANNELIEN BREDENOORD

groundbreaking  
research

HOME OVER NOMINATIES WINNAARS NIEUWS FAQ  
AMMODO ZOEK

NL EN



HANS CLEVERS

AMMODO SCIENCE AWARD for fundamental research

groundbreaking  
research

HOME OVER NOMINATIES WINNAARS NIEUWS FAQ  
AMMODO ZOEK

NL EN



SABINE FUCHS

AMMODO SCIENCE AWARD for fundamental research



**EDWARD NIEUWENHUIS**

TERUG NAAR DE WINNAARS

REGLEMENT  
PRIVACY-EN COOKIEVERKLARING  
DISCLAIMER

## CONTACT

asa@ammodo.org

020-794 4520

## SOCIAL

Volg ons op Facebook, LinkedIn of Vimeo

## NIEUWSBRIEF

Blijf op de hoogte van de laatste ontwikkelingen binnen de kunst en wetenschap. Schrijf je in voor de nieuwsbrief.

AMMODO NIEUWSBRIEF

REGLEMENT

PRIVACY-EN COOKIEVERKLARING

DISCLAIMER

## CONTACT

asa@ammodo.org

020-794 4520

## SOCIAL

Volg ons op Facebook, LinkedIn of Vimeo

## NIEUWSBRIEF

Blijf op de hoogte van de laatste ontwikkelingen binnen de kunst en wetenschap. Schrijf je in voor de nieuwsbrief.

AMMODO NIEUWSBRIEF

REGLEMENT

PRIVACY-EN COOKIEVERKLARING

DISCLAIMER