

PROGRAMMA

18 maart 2005 te Groningen

Symposium Translationeel en Klinisch genterapie onderzoek

- 10.00 uur - **Wat betekent genterapie voor Nederland?**
Prof. dr. J. Sixma (ZonMw)
- 10.30 uur - **Genterapie voor vetstofwisseling**
Dr. J. Twisk (AMC)
- 11.00 uur - **Suicide genterapie**
Prof. dr. A. Hagenbeek (UMCU)
- 11.30 uur - **Wat betekent genterapie voor de patient?**
Dr. C. Smit (VSOP)
- 12.00 uur - lunch en persmoment
- 13.00 uur - **Prodrug Therapy for Liver cancer: endogenous and exogenous activation**
Prof. dr. L. Seymour (Oxford)
- 14.00 uur - **Coronaviruses: Development of novel oncolytic vectors**
Tom Würdinger (Utrecht University)
- 14.20 uur - **A new platform for the generation of genetically targeted adenoviral vectors**
Erik Schagen (VU University Medical Center, Amsterdam)
- 14.40 uur - **Interleukin-1 receptor antagonist (IL-1Ra) lentiviral gene transfer to the murine knee joint ameliorates collagen-induced arthritis.**
Fons van de Loo (University Medical Center Nijmegen)
- 15.00 uur - **New cis-Acting Inhibitors of Antigen Processing to Stealth Transgene Products**
Arnaud Zaldumbide (Leiden University Medical Center)
- 15.20 uur - **Genetic immunotherapy of cervical carcinoma with replication-defective Semliki Forest virus expressing HPV type 16 E6 and E7**
Laura Bungener (University Medical Center Groningen)
- 15.40 uur - **Greiner Award Ceremony and Presentation**
- 16.00 uur - **Ledenvergadering NVGT**
- 16.15 uur - **Afsluiting** door Prof. Haisma en aansluitend borrel

Het symposium zal worden gehouden in de Faberzaal van het gebouw der Medische Wetenschappen en Farmacie, Rijksuniversiteit Groningen, Ant Deusinglaan 1, 9713 AV Groningen. De kosten voor dit symposium bedragen €15,- voor leden van de NVGT en €25,- voor niet leden (inclusief lunch). Registratie voor **5 maart 2005** via nvgt@azu.nl.



Highlights

van het symposium **Translationeel en klinisch genterapie onderzoek**

18 maart 2005 te Groningen

Genterapie voor vetstofwisseling door dr. Twisk (AMC)

Het project van Prof. Kastelein uit het Academisch Medisch Centrum in Amsterdam is gericht op het vervangen van een niet-functionerend vetstofwisselingsenzym door een gezond enzym. Lipoproteïne-lipase (LPL) is een essentieel enzym bij de afbraak van overtollige vetten (triglyceriden) in het bloed. Enkele tienduizenden patiënten in de westerse wereld missen dit enzym of hebben slecht functionerend LPL. De oorzaak hiervoor is dat het gen voor LPL niet functioneert. De patiënten lopen een groot risico op een levensbedreigende alveesklierontsteking. Tot op heden is er geen geneesmiddel voor deze ziekte beschikbaar. De onderzoekers hebben tezamen met het bedrijf 'Amsterdam Molecular Therapeutics' een genterapie ontwikkeld. Met deze therapie wordt aan spierweefsel het gezonde LPL gen toegediend. Het gezonde gen produceert een hoeveelheid werkend enzym die voldoende is om de vetstofwisseling te normaliseren en alveesklierontsteking te voorkomen. In katten die aan dezelfde ziekte leiden werkt de LPL-genterapie goed. Het is de verwachting dat in 2005 de LPL-genterapie voor het eerst bij een aantal patiënten zal worden toegepast. Omdat de ziekte zeldzaam is, behoort deze tot de zogenaamde "weesziekten" en hebben de Europese overheden LPL-genterapie de weesgeneesmiddelen-status toegekend. Een relatief snelle beschikbaarheid voor de patiënt behoort hiermee tot de mogelijkheden.

Suicide genterapie door Prof. dr. Hagenbeek (UMCU)

Dit voorjaar zal in het Universitair Medisch Centrum Utrecht (Afdeling Hematologie) de eerste klinische genterapie studie van start gaan. Er zullen 10 patiënten met bloed- of lymfeklierkanker behandeld worden bij wie de ziekte na een donorstamceltransplantatie opnieuw de kop heeft opgestoken. Het doel van de behandeling is de ziekte opnieuw terug te dringen door een genetische schakelaar aan te brengen in donorafweercellen (lymfocyten) welke de patiënten via de bloedbaan zullen ontvangen. De gentransfer in de donorcellen zal onder de meest strikt gecontroleerde omstandigheden plaatsvinden in de Gen- en Celtherapie Faciliteit van het UMC Utrecht. In de afweercellen wordt tevoren in het laboratorium een zogenaamd "zelfmoord gen" ingebracht, waarna het later na toediening van deze cellen aan de patient-ontvanger mogelijk is om de cellen selectief uit te schakelen met een bijpassend medicijn. De donorlymfocyten plegen zelfmoord zodra ze het medicijn hebben opgenomen. Met andere woorden, alleen de genetisch gemodificeerde afweercellen zijn gevoelig voor deze "prodrug". Met deze vorm van genterapie wordt beoogd om de schadelijke bijwerkingen van infusie van donorafweercellen, welke de zogenaamde omgekeerde afstotingsreactie veroorzaken, op elk gewenst moment te stoppen, terwijl intussen maximaal geprofiteerd is van hun afweerreactie tegen de kwaadaardige cellen in de ontvanger. De beoogde studie zal 2 jaar in beslag nemen en, indien succesvol, op grotere schaal worden voortgezet.

