



Radboudumc en Asthera slaan handen ineen voor nieuwe therapie voor de ziekte van Stargardt

RNA-therapie voor patiënten met ernstige erfelijke oogaandoening

RNA-therapie moet in de toekomst voorkomen dat het zicht van patiënten met de ziekte van Stargardt verder achteruitgaat. Voor de behandeling, die nu nog in de ontwikkelfase is, heeft de Radboudumc Holding samen met hoogleraren Rob Collin en Carel Hoyng het bedrijf Asthera opgericht. Dit is het eerste biotech bedrijf dat vanuit het Radboudumc is gestart op het gebied van oogziekten. Het doel is om een unieke behandeling voor deze, vaak nog jonge, patiënten aan te bieden.

De ziekte van Stargardt is een erfelijke aandoening die het centrale deel van het netvlies (de gele vlek) aantast. Het gezichtsvermogen van patiënten met deze ziekte gaat langzaam achteruit en kan uiteindelijk ernstige slechtziendheid veroorzaken. Eén op de tienduizend mensen heeft er last van, en is er momenteel nog geen behandeling mogelijk. De ziekte wordt veroorzaakt door mutaties (foutjes) in het ABCA4 gen. Het is de meest voorkomende vorm van maculadegeneratie bij jongeren en jongvolwassenen; de ziekte begint vaak al op de kinderleeftijd.

RNA-therapie die achteruitgang zicht stopt

RNA-therapie kan ervoor zorgen dat bij patiënten met de ziekte van Stargardt verdere achteruitgang van het zicht wordt voorkomen. Bij RNA-therapie worden zogenoemde antisense oligonucleotiden (AONs), kleine synthetische RNA-moleculen, gebruikt om de aanmaak van eiwitten te herstellen. Bij onder meer de erfelijke oogaandoening Amaurosis congenita van Leber zijn al veelbelovende resultaten behaald met AONs. Een enorm voordeel van AONs ten opzichte van andere therapeutische strategieën is dat het de oorzaak van het probleem bij de wortels aanpakt, namelijk het corrigeren van foutief aangemaakt RNA. Daarnaast zijn het relatief kleine moleculen die eenvoudig de juiste cellen in het netvlies kunnen bereiken.

De therapie is ontwikkeld door de onderzoeksgroep van Rob Collin, hoogleraar Moleculaire therapie voor erfelijke netvliesaanandoeningen aan het Radboudumc. “Voor verschillende mutaties in het ABCA4 gen hebben we al AONs ontwikkeld die verkeerd gemaakt RNA kunnen herstellen, althans in gekweekte cellen. Nu is het tijd voor de volgende stap”, aldus Collin. De methode houdt in dat patiënten met regelmaat, twee tot vier keer per jaar, behandeld zullen moeten worden. Hij verwacht wereldwijd tienduizenden mensen met de ziekte van Stargardt te kunnen helpen.

Patiënten die al op jonge leeftijd weten wat hen te wachten staat

Wanneer de behandeling beschikbaar wordt voor patiënten, is nog niet bekend. Meer klinische studies zijn nodig. Asthera, spin-off van het Radboudumc en het eerste biotechbedrijf dat vanuit het Radboudumc opgericht is voor oogziekten, gaat hieraan bijdragen. Hoogleraar Oogheelkunde Carel Hoyng: “Ik ben verheugd en trots dat Asthera is opgericht. Wij kunnen nu echt iets betekenen voor de vele patiënten met de ziekte van Stargardt. In het Radboudumc zien we de meeste mensen met deze aandoening, waardoor we in staat zijn ons onderzoek direct toepasbaar te maken voor patiënten. Ik zie jonge patiënten op mijn poli die weten dat ze op een gegeven moment hun zicht gaan verliezen. Het heeft enorm veel gevolgen voor de levenskeuzes die ze maken: welke opleiding kunnen ze doen, wat voor baan ligt hen in het verschiet? Hoe eerder we hen kunnen helpen, hoe minder zicht ze zullen verliezen. Dat zijn de mensen voor wie we het doen.”