



Aanvulling Niet-technische samenvatting

Beoordeling achteraf 2016758-BA

1 Algemene gegevens

1.1 Titel van het project | Ontwikkeling genetische therapie voor erfelijke blindheid

2 Gebruik dieren

2.1 Welke diersoorten zijn gebruikt? | Muizen (*Mus musculus*)

2.2 Hoeveel dieren zijn gebruikt? | 835

2.3 Wat is het werkelijke ongerief dat de dieren hebben ondergaan? | 8 muizen hebben licht ongerief gehad en 827 muizen hebben matig ongerief gehad.

3 Opbrengsten

3.1 Wat zijn de belangrijkste opbrengsten van het project?

1. Antisense oligonucleotide (AONs, in lekentaal ook wel moleculaire pleisters genoemd) kunnen kleine chemische veranderingen bevatten, om te zorgen dat hun werking en stabiliteit wordt verhoogd. We hebben de werking, stabiliteit en veiligheid van verschillende chemische veranderingen aan onze AONs bestudeerd binnen het muizennetvlies, en aangetoond dat bepaalde veranderingen ervoor zorgen dat de werking van de AONs hoger is in vergelijking met andere veranderingen.
2. We hebben aangetoond dat injectie van een virus met daarin de genetische code van het zogeheten *PCARE* gen kan leiden tot opname in het netvlies en aanmaak van het juiste genproduct; dit kan er in de toekomst voor zorgen dat er een gentherapie voor patiënten verder ontwikkeld kan worden.
3. We hebben een nieuwe methode ontwikkeld waarmee we heel gericht kunnen kijken hoe muizen met een genetisch defect dat leidt tot netvliesdegeneratie reageren op het aanbieden van visuele stimuli. Daarmee kunnen we in de toekomst het effect van mogelijke therapieën in dit systeem onderzoeken.

4 Nieuwe inzichten

4.1 Zijn er nieuwe inzichten die kunnen leiden tot vervanging, vermindering en/of verfijning?

We hebben gedurende de looptijd van het project gewerkt aan een parallelle ontwikkeling, namelijk het opzetten en optimaliseren van een alternatief cellulair modelsysteem, namelijk retinale organoïden. Dit zijn gekweekte mini-orgaantjes die bepaalde eigenschappen van een bepaalde weefsel of orgaan – in ons geval het netvlies – nabootsen. Hiermee kunnen we, nu en in de toekomst – een hoop dierproeven vervangen door experimenten in dit celsysteem.

5 In te vullen door CCD

Publicatie datum

12-4-2024

Andere opmerkingen

Dit betreft een beoordeling achteraf.