

1 Algemene gegevens

- 1.1 Titel van het project Ontwikkeling van een celtherapie voor Myotone Dystrofie type 1
- 1.2 Looptijd van het project | 22-1-2017 - 22-1-2022 _____
- 1.3 Trefwoorden (maximaal 5) | Myotone Dystrofie, Voorlopercellen, Gentherapie, Cellulaire therapie _____
| _____

2 Categorie van het project

- 2.1 In welke categorie valt het project.

U kunt meerdere mogelijkheden kiezen.

- Fundamenteel onderzoek
 Translationeel of toegepast onderzoek
 ~~Wettelijk vereist onderzoek of routinematige productie _____~~
 ~~Onderzoek ter bescherming van het milieu in het belang van de gezondheid of het welzijn van mens of dier _____~~
 Onderzoek gericht op het behoud van de diersoort
 ~~Hoger onderwijs of opleiding _____~~
 ~~Forensisch onderzoek _____~~
 ~~Instandhouding van kolonies van genetisch gemodificeerde dieren, niet gebruikt in andere dierproeven _____~~

3 Projectbeschrijving

3.1	Beschrijf de doelstellingen van het project (bv de wetenschappelijke vraagstelling of het wetenschappelijk en/of maatschappelijke belang)	Het doel van de studie is het ontwikkelen van een therapie om de spierklachten van patiënten met Myotone Dystrofie type 1 (DM1) te behandelen. DM1 is een erfelijke ziekte die wordt veroorzaakt door een verandering in het DNA, waardoor onder andere spierklachten ontstaan. In dit project proberen we in een muismodel de spierklachten te verhelpen door (voorloper)spiercellen toe te dienen waarin het DNA hersteld is. Deze gezonde cellen kunnen in het lichaam aangedaan spierweefsel herstellen. Door het gebruik van lichaamseigen cellen zullen er geen afweerreacties ontstaan. Ook menselijke cellen worden op een vergelijkbare manier getest op bruikbaarheid voor een therapie. Hiervoor worden gerepareerde voorloper cellen van patiënten of voorloper cellen van gezonde vrijwilligers gebruikt.
3.2	Welke opbrengsten worden van dit project verwacht en hoe dragen deze bij aan het wetenschappelijke en/of maatschappelijke belang?	Met een incidentie van 1:10.000 is DM1 een relatief veel voorkomende erfelijke ziekte. De spierklachten hebben een grote invloed op het dagelijks leven van patiënten en hun omgeving. Er is op dit moment helaas geen behandeling beschikbaar. Dit onderzoek draagt bij aan de ontwikkeling van een nieuwe therapie met herstelde voorlopercellen voor deze patiënten. De aanpak zou in de toekomst ook gebruikt kunnen worden voor patiënten met andere spieraandoeningen.
3.3	Welke diersoorten en geschatte aantallen zullen worden gebruikt?	In totaal 650 muizen. Het deel van de muizen met de afwijking in het DNA waardoor DM1 ontstaat, wordt gebruikt voor onderzoek.
3.4	Wat zijn bij dit project de verwachte negatieve gevolgen voor het welzijn van de proefdieren?	De dieren zullen stress en kortdurende pijn ondervinden door herhaalde injecties in de spieren, bloedafnames, bewegingstesten, gedwongen lopen op een loop-rad en matige spierklachten.
3.5	Hoe worden de dierproeven in het project ingedeeld naar de verwachte ernst?	30% van de muizen ervaart licht ongerief, de overige 70% ervaart matig ongerief.
3.6	Wat is de bestemming van de dieren na afloop?	Om te onderzoeken hoeveel effect de behandeling heeft op het spierweefsel, worden de muizen na de proefperiode gedood zodat het spierweefsel onder de microscoop kan worden onderzocht.

4 Drie V's

4.1	Vervanging Geef aan waarom het gebruik van dieren nodig is voor de beschreven doelstelling en waarom proefdiervrije alternatieven niet gebruikt kunnen worden.	Om te onderzoeken of de toediening van spiercellen of voorlopercellen kan bijdragen aan spieropbouw en vermindering van de symptomen, is het nodig dit eerst in een diermodel te testen voordat de stap naar de kliniek wordt gemaakt. Er zijn geen proefdiervrije alternatieven waarin dit goed onderzocht kan worden.
4.2	Vermindering Leg uit hoe kan worden verzekerd dat een zo gering mogelijk aantal dieren wordt gebruikt.	Door gebruik te maken van resultaten uit eerdere experimenten of uit pilot studies kunnen we de experimenten optimaal ontwerpen, zodat we met zo min mogelijk dieren betrouwbare resultaten zullen krijgen. Daarnaast behandelen we maar één poot van de muis. De andere poot fungeert als controle, waardoor er minder dieren nodig zijn.
4.3	Verfijning Verklaar de keuze voor de diersoort(en). Verklaar waarom de gekozen diermodel(len) de meest verfijnde zijn, gelet op de doelstellingen van het project.	Voor de vraagstelling zijn de bestaande DM1 muizen het enige relevante proefmodel waarin symptomen, zoals aanwezig in de mens, duidelijk aanwezig zijn. Minder complexe diersoorten zijn daarom niet geschikt voor dit onderzoek. Het aanhouden van de lijn zal worden gedaan met de minst belaste dieren. Er zijn geen alternatieve experimenten beschikbaar die minder ongemak geven waarmee de doelstelling van het project gehaald kan worden.
4.4	Vermeld welke algemene maatregelen genomen worden om de negatieve (schadelijke) gevolgen voor het welzijn van de proefdieren zo beperkt mogelijk te houden.	Alle mogelijke maatregelen zijn genomen om het ongerief van de muizen te beperken. DM1 muizen kunnen last krijgen van olifantstanden. Wanneer dit optreedt worden de tanden geknipt of wordt het voer in water geweekt zodat voedselopname makkelijker wordt.

5 In te vullen door de CCD

Publicatie datum | 3 februari 2017

Beoordeling achteraf | Nee

Andere opmerkingen De vergunning loopt van 1 februari 2017 tot en met 22 januari 2022.