

Gentherapie: reparatie van erfelijk materiaal

Biomedisch onderzoek staat volop in de schijnwerpers. Spraakmakende resultaten zijn aan de orde van de dag en ontwikkelingen volgen elkaar in snel tempo op. Gentherapie is een veelbelovende techniek in de biomedische wereld. Maar wat zijn genen ook al weer precies? Kun je met gentherapie erfelijke eigenschappen veranderen? Wat mag je verwachten van gentherapie? Is gentherapie toekomstmuziek of bestaat het nu al? Vragen te over. Tijd om je er meer over te vertellen.

Een fout in de bouwtekening

Waarvoor kun je gentherapie eigenlijk gebruiken? Eiwitten doen veel belangrijke dingen in ons lichaam. Zo hebben ze de rol van bouwstof, brengen boodschappen over en breken afvalstoffen af. De bouwtekeningen van eiwitten zijn beschreven in ons erfelijk materiaal, het DNA. Deze bouwtekeningen noemen we genen. Wanneer er met een bouwtekening, of gen, iets mis is, wordt er geen goed werkend eiwit gemaakt. Dat kan ernstige gevolgen hebben. Ziekten als hemofilie (een aangeboren afwijking van de bloedstolling) en cystic fibrosis (taaislijmziekte) zijn hier voorbeelden van.



Zit 't in de familie?

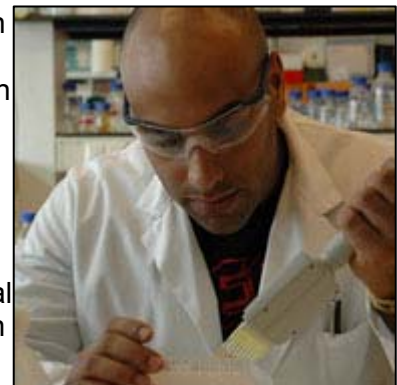
Je oogkleur erf je van je ouders. Blauw, groen of bruin, het zit vaak 'in de familie'. Bij sommige erfelijke eigenschappen speelt niet alleen erfelijkheid een rol, maar ook je leefstijl en de dingen die je meemaakt. Vergelijk het bijvoorbeeld met pianospelen: je kunt nóg zoveel aanleg hebben om goed piano te spelen, maar als je geen les neemt wordt het moeilijk om een tweede Beethoven te worden.

Dit geldt ook voor veel ziekten en aandoeningen. Het zijn meestal niet alleen erfelijke eigenschappen die bepalen of je gezond blijft of ziek wordt. Dat hangt bijvoorbeeld ook af van wat je eet, hoeveel je beweegt, waar je woont en wat je meemaakt.

Van sommige erfelijke ziekten is het wel zeker dat je ze krijgt wanneer er geen goede bouwtekening voor een eiwit voor handen is. Juist die ziekten hopen wetenschappers met gentherapie te genezen.

De basis van gentherapie

Het idee voor gentherapie ontstond al in 1989. Wanneer genen fouten bevatten en eiwitten daardoor niet goed werken, zou je daar iets aan moeten kunnen doen. Vervang of repareer je zo'n gen, dan is het probleem verholpen. Klinkt mooi, nietwaar?



Een wel heel bijzonder vervoermiddel

Maar hoe krijg je een 'goed werkend' gen op zijn plaats van bestemming? Daarvoor is een vervoermiddel nodig: het gen kan dat niet op eigen kracht. Als vervoermiddel worden meestal onschadelijk gemaakte virussen gebruikt. Virussen leveren van nature hun eigen genen in cellen af, waardoor je uiteindelijk ziek wordt. Virussen die voor gentherapie gebruikt worden, zijn onschadelijk gemaakt. Deze aangepaste virussen veroorzaken geen ziekten meer, maar leveren het gen wel keurig af. Tenminste, dat was het idee.

Aanvankelijk op laag pitje

In de praktijk bleek het namelijk niet zo eenvoudig. Bij onderzoek naar gentherapie voor een ernstige afweerstoornis kwam het nieuwe gen soms op een verkeerde plaats terecht. Hierdoor kregen drie van de behandelde patiënten leukemie. Twee van deze patiënten herstelden gelukkig en bij alle andere patiënten verliep alles verder goed. Zij leiden inmiddels een normaal, gezond leven, zonder medicijnen. Het risico op het ontstaan van leukemie

heeft er desondanks wel voor gezorgd, dat het onderzoek naar gentherapie een paar jaar op een laag pitje heeft gestaan.

Steeds meer kennis en mogelijkheden

De laatste jaren is vooral veel gezocht naar beter aangepaste virussen, waarvan duidelijk is hoe ze genen vervoeren. De wetenschap denkt voor bepaalde ziekten inmiddels veel veiligere vervoermiddelen te hebben gemaakt. Er wordt dan ook reikhalzend naar de resultaten van allerlei nieuwe onderzoeken uitgekeken. De eerste resultaten worden verwacht bij de behandeling van hemofilie, cystic fibrosis, verschillende afweerstoornissen, stofwisselingsziekten, oogziekten, maar ook kanker.

Gentherapie: een veelbesproken onderwerp

Over gentherapie wordt veel gesproken. Er zijn mensen die bezwaar hebben tegen het aanpassen van erfelijk materiaal. Voorstanders van gentherapie vinden dat geen punt, zolang maar niet het erfelijk materiaal van zaadcellen en eicellen wordt aangepast. Een onverwachte fout, zoals aanleg voor leukemie, wordt dan niet aan de kinderen van de behandelde patiënt doorgegeven.

Wat biedt de toekomst?

Gentherapie is tot nu toe alleen geschikt wanneer er in één gen een fout is ontstaan. Veel erfelijke aandoeningen worden veroorzaakt doordat meerdere bouwtekeningen niet kloppen. Bovendien hangt de kans dat je ziek wordt af van wat je eet of waar je woont. Gentherapie is dan erg ingewikkeld of zelfs onmogelijk. Wat de toekomst in petto heeft, is niet bekend. De verwachtingen zijn hooggespannen. De resultaten tot nu toe zijn veelbelovend; de ontwikkelingen gaan snel.

Zeker is dat er nog veel staat te gebeuren!

Meer weten?

Wil je meer informatie, kijk dan eens op: www.biomedisch.nl/gentherapie

erfo centrum

Dit is een folder van het Erfocentrum, een onafhankelijke non-profit organisatie gericht op kennis en voorlichting over erfelijkheid, zwangerschap, erfelijke en aangeboren aandoeningen en medische biotechnologie.

Deze folder wordt financieel mogelijk gemaakt door het Ministerie van VWS.

© Erfocentrum 2006

Contactgegevens Erfocentrum

Vredenhofstraat 31, 3761 HA Soestdijk
tel. 035-6027173, fax 035-6027440
E-mail: erfocentrum@erfocentrum.nl
www.erfocentrum.nl
www.biomedisch.nl

Met medewerking van prof.dr. Hidde Haisma, voorzitter van de Nederlandse Vereniging voor Gentherapie.