

Ministerie van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport

> Retouradres Postbus 20350 2500 EJ Den Haag

De Voorzitter van de Tweede Kamer
der Staten-Generaal
Postbus 20018
2500 EA DEN HAAG

Bezoekadres:
Parnassusplein 5
2511 VX Den Haag
T 070 340 79 11
F 070 340 78 34
www.rijksoverheid.nl

Ons kenmerk
PG/E 3048354

Bijlagen

Uw brief

*Correspondentie uitsluitend
richten aan het retouradres
met vermelding van de datum
en het kenmerk van deze
brief.*

Datum 7 februari 2011

Betreft exon skipping bij behandeling ziekte van Huntington

Geachte voorzitter,

Tijdens het plenaire debat op 12 januari 2011 over het verslag van een schriftelijk overleg over een exclusietest voor Huntingtonpatiënten (25424, nr. 106) stelde mevrouw Wiegman mij een vraag ten aanzien waarvan ik toegezegd heb deze schriftelijk te beantwoorden. Zij vroeg mij "ruimte te geven aan ontwikkelingen die op het terrein van de ziekte van Huntington gaande zijn, namelijk via de techniek van het zogenaamde exon skipping". Zij gaf daarbij aan dat medische trials ingewikkeld zijn en traag verlopen, vooral in Nederland. Zij vroeg om een toezegging op deze twee punten.

Over het tweede punt heeft mevrouw Wiegman op 13 januari 2011 ook schriftelijke vragen gesteld (2011Z00497) aan mij en de Minister van Economische Zaken, Landbouw en Innovatie. Ik verwijs u graag naar de beantwoording van die vragen die ik u binnenkort toestuur.

Wat is exon skipping?

Onze genetische informatie is vastgelegd in het DNA. Een deel van deze informatie bevat voor de cel de instructies voor het produceren van eiwitten. Dit worden de genen genoemd. De genen bestaan (in de regel) uit zogenaamde intronen en exonen. Het zijn de exonen die de gedetailleerde informatie bevatten voor productie van de eiwitten. Bij sommige erfelijke ziekten bevat één van de exonen van het gen een fout waardoor de productie van het hele eiwit niet goed verloopt. Er wordt dan geen eiwit geproduceerd of een eiwit dat niet of slechts gedeeltelijk functioneert. Exon skipping is een techniek waarmee bij de productie van het eiwit de fout wordt hersteld.

Voorbeelden van ziekten waarvoor deze techniek als veelbelovend wordt beschouwd zijn de spierdystrofie van Duchenne en de ziekte van Huntington.

De ziekte van Duchenne is een erfelijke aandoening waarbij in een van de exonen een fout zit. Bij een klein aantal patiënten die lijden aan deze ziekte wordt nu onderzocht of het foute exon als het ware heel precies afgepakt kan worden met een stukje synthetisch DNA, terwijl de rest van het gen onaangetast blijft. De informatie van dit 'afgeplakte' exon wordt dan overgeslagen bij de productie van het Duchenne eiwit (exon skipping). Dan wordt er in de spiercel een iets kleiner Duchenne eiwit gemaakt. De hoop is dat dit kleinere Duchenne eiwit toch nog voldoende activiteit heeft zodat de patiënten baat hebben bij het toedienen van het synthetisch stukje DNA. Of dit zo is, wordt momenteel onderzocht in een

klinische studie met Duchenne patiënten. Daarbij wordt ook gekeken of de toediening van het synthetisch DNA geen ernstige bijwerkingen oplevert voor de patiënt. Het is namelijk bekend dat sommige stukjes synthetisch DNA aanleiding kunnen geven tot nierschade. Wanneer blijkt dat de exon skipping voor de patiënt veilig en effectief is, zal de behandeling levenslang voortgezet moeten worden.

Ons kenmerk

De techniek van exon skipping kan ook onderzocht worden bij andere aandoeningen zoals de ziekte van Huntington. Bij deze ziekte bevindt het exon skipping onderzoek zich nog in de pre-klinische (dierexperimentele) fase.

Het wetenschappelijk onderzoek naar de exon skipping techniek staat dus nog in de kinderschoenen en er is nog lang geen duidelijkheid over de korte en lange termijn risico's van het toedienen van de stukjes synthetisch DNA. Zodra onderzoek wordt gedaan bij patiënten (klinisch wetenschappelijk onderzoek), is de Wet medisch-wetenschappelijk onderzoek met mensen (WMO) van toepassing. Omdat het gaat om "wetenschappelijk onderzoek waarbij in menselijke lichaamscellen opzettelijk wijzigingen worden aangebracht in het erfelijk materiaal of het functioneren van het erfelijk materiaal specifiek wordt beïnvloed" moet dit onderzoek worden beoordeeld door de centrale commissie mensgebonden onderzoek (CCMO). Dit bepaalt het Besluit centrale beoordeling medisch-wetenschappelijk onderzoek met mensen dat gebaseerd is op artikel 2 van de WMO.

Er is binnen de wettelijke marges van de WMO voldoende ruimte voor de ontwikkelingen op dit terrein.

Ik vertrouw erop u met bovenstaande voldoende te hebben geïnformeerd.

Hoogachtend,
de Minister van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport,

mw. drs. E.I. Schippers