

Hoop voor zeldzame ziektes

Daniël de Boer is CEO van ProQR. Dit biotechbedrijf ontwikkelt onder andere een medicijn tegen taaislijmziekte.

'Acht jaar geleden werd mijn zoon geboren. Hij kreeg de diagnose taaislijmziekte. De dokters vertelden me dat er niet veel medicijnen tegen deze ziekte werden ontwikkeld. Omdat taaislijmziekte relatief weinig voorkomt, is het moeilijk om de investering voor de ontwikkeling ervan ooit terug te verdienen. Ik vond dit te belangrijk om aan andere mensen over te laten en te wachten of er iets zou gebeuren. Dus ben ik het zelf gaan doen. Ik was destijds IT-ondernemer en wist niets van biotech. Toen heb ik mijn IT-bedrijf verkocht en heb ik me twee jaar lang verdiept in taaislijmziekte en de biotechsector. Ik heb goede mensen om mij heen verzameld, zoals Henri Termeer van het Amerikaanse bedrijf Genzyme, Dinko Valerio en Réne Beukema van Crucell en Gerard Platenburg van ProSensa.

Met deze ervaren mannen om mij heen heb ik ProQR opgericht. En so far so good: uit de resultaten van onze eerste klinische studie lijkt ons kandidaat-medicijn tegen taaislijmziekte inderdaad effect te hebben op de patiënten. Het middel doet wat het moet doen: het aangetaste eiwit, waardoor mensen ziek worden, gaat weer werken. Dat is heel bemoedigend.

'Ik had niet de illusie dat ik het beter zou kunnen dan grote bedrijven'

Een nieuwe methode

Natuurlijk waren er destijds veel mensen die zeiden dat ik er niet aan moest beginnen. Zij hadden weinig vertrouwen dat het me ooit zou lukken. Ik had ook niet de illusie dat ik het beter zou kunnen dan grote bedrijven. Daarom leek het me nuttiger om iets nieuws te doen, iets dat de rest niet deed.

We besloten een hele nieuwe methode voor het bestrijden van het genetisch defect in taaislijmziekte te ontwikkelen: RNA-therapie. Een genetische ziekte wordt veroorzaakt door een defect in het DNA.

Die fout wordt gekopieerd naar het RNA en dat zorgt ervoor dat een bepaald eiwit niet werkt. Voordat ik mijn bedrijf begon, richtten de medicijnen tegen taaislijmziekte zich op het bestrijden van de symptomen, zoals aanhoudend hoesten of slijm opgeven, terugkerende luchtweginfecties en groeiachterstand. Maar er was niets dat het onderliggende probleem aanpakte.

Met onze techniek kunnen we veel genetische ziekten aanpakken waarbij een defect in het DNA en dus in het RNA optreedt. Het maakt niet uit of dat oog-, long- of huidziekten zijn. We ontwikkelen nu ook medicijnen voor kinderen met de oogziekte LCA, die hen snel blind maakt, en voor kinderen met de 'vlinderziekte', waarbij de huid loslaat. De RNA-technologie is zo breed in te zetten, dat er mogelijk wel honderd medicijnen kunnen worden ontwikkeld.

Naar de beurs

Ik voel dat als een grote verantwoordelijkheid. Ook voor het aanjagen van onderzoek is het goed om de techniek op meerdere gebieden toe te passen. Je leert ervan en kunt het daardoor nog beter toepassen.

Inmiddels bestaat ProQR vijf jaar. Twee jaar na de oprichting zijn we naar de beurs in Amerika gegaan en hebben we zo'n tweehonderd miljoen dollar opgehaald om medicijnen mee te ontwikkelen. Nu werken hier honderdvijftig mensen met dertig nationaliteiten - wetenschappers, toxicologen, artsen en medicijnontwikkelaars - aan de ontwikkeling van RNA-medicijnen.

Met mijn zoon gaat het tot nu toe goed. Natuurlijk is hij een enorme stimulans. Maar het mooie is dat als dit medicijn de eindstreep haalt, we een enorme impact kunnen hebben op de levens van nog veel meer mensen.'

Meer info: proqr.com

Wat is taaislijmziekte?

Taaislijmziekte, ook bekend als cystic fibrosis, is een erfelijke chronische ziekte. Het lichaam bevat ontelbaar veel kliertjes die slijm uitscheiden. Dat slijm helpt bij het afvoeren van bacteriën en bijvoorbeeld stofdeeltjes die zijn ingeademd. Ook transporteert het slijm enzymen naar de darmen, waardoor vetten worden verteerd.

Bij mensen met cystic fibrosis is het slijm taai en dik. Vooral in de longen zorgt het opgehoopte slijm voor ontstekingen en leidt het tot benauwdheid. Ook de alvleesklier en de lever functioneren slechter. Ten slotte kunnen ook de darmen verstopt raken. Taaislijmziekte is erfelijk en komt in Nederland bij zo'n vijftienhonderd mensen voor, onder wie circa zeventienhonderd kinderen. De gemiddelde leeftijd van overlijden ligt momenteel onder de dertig jaar.

Bron: Longfonds en patiëntregisters Amerika en Europa

