**LUMC en Radboudumc starten centrum voor RNA-therapie voor zeer zeldzame ziekten**

**Wetenschappers en artsen van het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC) en het Radboudumc starten gezamenlijk het Dutch Center for RNA Therapeutics (DCRT). Doel van dit nieuwe virtuele centrum is om RNA-therapie op maat te ontwikkelen voor patiënten met zeldzame genetische aandoeningen.**

Het DCRT zal zich richten op RNA-therapie voor patiënten bij wie het aangedane weefsel via lokale toediening direct te behandelen is. De behandeling is gericht op progressieve oog- en hersen- en spierziekten. Het gaat om genetische ziektes en mutaties die zo zeldzaam zijn dat het voor farmaceutische bedrijven minder interessant is om te investeren in het ontwikkelen van een behandeling. Het DCRT is het eerste centrum in Europa dat RNA-therapie voor zeer zeldzame ziektes gaat ontwikkelen.

**RNA-therapie**

De meeste erfelijke ziektes worden veroorzaakt door fouten in het DNA, waardoor helemaal geen eiwitten of schadelijke eiwitten worden geproduceerd. Bij RNA-therapie worden zogenoemde antisense oligonucleotiden (AONs) gebruikt om de eiwitproductie te herstellen of om de hoeveelheid schadelijk eiwit te verminderen. Reeds ontstane schade wordt daarmee niet teruggedraaid, maar de voortgang van de ziekte wel geremd.

“In het LUMC hebben we al meer dan twintig jaar ervaring met het ontwerpen en testen van AONs. We zien het als een taak voor academische centra om deze behandeling beschikbaar te maken voor deze specifieke patiëntengroep”, aldus hoogleraar Translationele Genetica Annemieke Aartsma-Rus. Zij is een van de initiatiefnemers van het DCRT. “Ook in Nijmegen wordt al ruim tien jaar onderzoek verricht met AONs, onder andere op het gebied van erfelijke oogaandoeningen en het Usher syndroom, met veelbelovende resultaten”, zegt Rob Collin, onderzoeksleider binnen de afdeling Genetica van het Radboudumc.

Het DCRT wordt mogelijk gemaakt door een financiële bijdrage van de afdeling Humane Genetica van het LUMC. Het heeft geen winstoogmerk en zal geleid worden door dr. Willeke van Roon-Mom en prof. Annemieke Aartsma-Rus van de afdeling Humane Genetica van het LUMC. Tevens zijn neurologen dr. Erik Niks en prof. Jan Verschuuren, oogartsen prof. Camiel Boon en prof. Gré Luyten en ziekenhuisapotheker/klinisch farmacoloog prof. Henk-Jan Guchelaar betrokken. Vanuit Nijmegen zijn naast dr. Collin ook de genetici prof. Frans Cremers, dr. Susanne Roosing en dr. Alex Garanto, alsmede dr. Erwin van Wijk als onderzoeker van de afdeling KNO, oogarts prof. Carel Hoyng, en KNO-arts dr. Ronald Pennings bij het DCRT betrokken.

**European Reference Networks**

Het DCRT richt zich specifiek op behandeling van [zeldzame ziekten](https://www.lumc.nl/patientenzorg/expertisecentra-en-referentienetwerken/), een focuspunt voor patiëntenzorg binnen het LUMC. Het LUMC is het coördinerend centrum van het European Reference Network (ERN) voor zeldzame endocriene aandoeningen (Endo-ERN). Daarnaast zijn zowel het LUMC als het Radboudumc deelnemend expertisecentrum in verschillende ERNs voor onder andere botziekten, oogziekten, Usher syndroom, longziekten, solide kankervormen, hematologische ziekten, neuromusculaire ziekten en bindweefsel- en musculoskeletale ziekten.

*Meer voor meer informatie neem dan contact op met het DCRT via* *dcrt@lumc.nl**.*