

Ontwikkeling van een modelsysteem met behulp van geïnduceerde pluripotente stamcellen om de pathofysiologische mechanismen te onderzoeken die een verstandelijke beperking veroorzaken.

Gepubliceerd: 06-03-2013 Laatste bijgewerkt: 10-08-2024

1) Inzicht verkrijgen in de pathofysiologische mechanismen die leiden tot een verstandelijke beperking en 2) een modelsysteem te ontwikkelen dat het mogelijk maakt therapeutische interventies te screenen op effectiviteit.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Geestelijke achterstandstoornissen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON38756

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Ontwikkeling van een modelsysteem voor verstandelijke beperking

Aandoening

- Geestelijke achterstandstoornissen

Synoniemen aandoening

ontwikkelingsachterstand, verstandelijke beperking

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Leids Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Gisela Thier fellowship LUMC

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: genetica, ontwikkeling zenuwen, verstandelijke beperking

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Inzicht in de mechanismen die leiden tot een verstandelijke beperking

Secundaire uitkomstmaten

nvt

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Hoewel de afzonderlijke oorzaken van een verstandelijke beperking zeldzaam zijn heeft ongeveer 1% van de Nederlandse bevolking een verstandelijke beperking. Hoewel bij een deel van hen de genetische oorzaak bekend is, is er meestal weinig bekend over de precieze mechanismen die leiden tot de verstandelijke beperking. Hierdoor is het ook niet mogelijk om op zoek te gaan naar therapeutische mogelijkheden. Een belangrijk probleem bij dit type onderzoek is dat het weefsel dat een belangrijke rol speelt, het zenuwweefsel, niet verkregen kan worden. Door uit geïnduceerde pluripotente stamcellen zenuwen te maken kan deze hindernis nu worden overwonnen.

Doel van het onderzoek

1) Inzicht verkrijgen in de pathofysiologische mechanismen die leiden tot een verstandelijke beperking en 2) een modelsysteem te ontwikkelen dat het mogelijk maakt therapeutische interventies te screenen op effectiviteit.

Onderzoeksopzet

Vergelijken van iPS-cellen en neuronen van proefpersonen en controle-cellijnen op verschillende moleculaire niveaus.

Inschatting van belasting en risico

Belasting: eenmalid huidbiopt. Dit wordt door patienten omschreven als iets vervelender dan een bloedafname. De risico's zijn te verwaarlozen.

Contactpersonen

Publiek

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2
RC 2300
NL

Wetenschappelijk

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2
RC 2300
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Verstandelijke beperking
Bekende moleculaire of klinische diagnose

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

none

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 30-04-2013

Aantal proefpersonen: 50

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 06-03-2013

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)

metc-ldd@lumc.nl

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
CCMO	NL43069.058.12