

Mutaties corrigeren met CRISPR-Cas9 in vitro; op weg naar autologe stamcel transplantatie voor sikkelcelziekte en X-gebonden SCID

Gepubliceerd: 04-04-2016 Laatste bijgewerkt: 17-04-2024

Voorbereiding voor in vivo correctie van SCD en X-SCID veroorzakende mutaties d.m.v. CRISPR-Cas9 in vitro studies in cellijnen.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Rode-bloedcelaandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON43429

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Sikkelcelziekte en X-SCID corrigeren met CRISPR-Cas9 in vitro

Aandoening

- Rode-bloedcelaandoeningen
- Immunostelselaandoeningen, congenitaal

Synoniemen aandoening

X-gebonden ernstig gecombineerde immunostoornis

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: CRISPR-Cas9, in vitro, sikkelcelziekte, X-gebonden SCID

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Percentage cellen waarin de SCD danwel X-SCID veroorzakende mutaties gecorrigeerd zijn zonder detecteerbare mutaties in andere genen

Secundaire uitkomstmaten

nvt

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Sikkelcelziekte (SCD) en X-gebonden ernstige immunodeficientie (X-SCID) zijn beide Mendeliaanse, levensbedreigende aandoeningen die alleen door middel van een allogene stamceltransplantatie genezen kunnen worden. Genetische modificatie zou het mogelijk maken dat patiënten een autologe in plaats van een allogene stamceltransplantatie ontvangen, waardoor transplantatie gerelateerde morbiditeit en mortaliteit zouden dalen.

Doel van het onderzoek

Voorbereiding voor in vivo correctie van SCD en X-SCID veroorzakende mutaties d.m.v. CRISPR-Cas9 in vitro studies in cellijnen.

Onderzoeksopzet

Observationele studie met invasieve metingen

Inschatting van belasting en risico

Het risico en de belasting van een huidbiopsie zijn verwaarloosbaar, met name wanneer deze afgenomen is tijdens een chirurgische ingreep waarbij de chirurgische incisie gebruikt wordt, die reeds gemaakt moet worden vanwege klinische redenen. Genetische modificatie zou het mogelijk maken dat patiënten een autologe in plaats van een allogene stamceltransplantatie ontvangen,

hetgeen een voordeel voor de groep zou geven.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
Amsterdam 1105 AZ
NL

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
Amsterdam 1105 AZ
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)

1. bekend met sikkelcelziekte of met X-SCID

2. In het geval van minderjarigen: beschikbaarheid van een bestaande cellijn danwel geplande chirurgische interventie om klinische redenen
3. mogelijkheid om geschreven toestemming te verlenen

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

geen

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 04-05-2016

Aantal proefpersonen: 6

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 04-04-2016

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

Goedgekeurd WMO

Datum: 09-12-2016

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

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	NL56205.018.16