

## Celtherapie: vervangen of verbeteren van bestaande cellen

RNA-, gen- en celtherapie zijn zogenaamde genetics medicijnen. Deze innovatieve therapieën behandelen de oorzaak van ziektes die veroorzaakt worden door:

- mutaties die vanaf de geboorte in de genen zitten of
- mutaties door factoren zoals de zon, luchtvervuiling, alcohol, etc.

Traditionele medicijnen kunnen soms wel de symptomen van deze ziektes behandelen, maar niet de oorzaak wegnemen. Genetics medicijnen kunnen dat wel. Met de komst van deze medicijnen kunnen er niet alleen betere geneesmiddelen gemaakt worden, maar worden ook behandelingen ontwikkeld voor ziektes waar nog geen medicijn voor beschikbaar is. Er zijn al 100 geneesmiddelen op basis van deze technologieën op de markt, onder andere voor de behandeling van bepaalde vormen van ALS en kanker, maar ook voor hemofilie en cardiovasculaire ziektes.

In dit artikel beschrijven we de werking van celtherapie, de sterke en zwakke punten en geven we voorbeelden van medicijnen die momenteel op de markt zijn. We sluiten af met een overzicht van de toekomstige ontwikkelingen.

### **Wat is celtherapie?**

Bij celtherapie worden de cellen van de patiënt zelf of die van een gezonde donor gebruikt om een ziekte te behandelen of te voorkomen. De cellen worden 'gemanipuleerd' om iets te doen wat ze eerst niet deden. Ze worden verbeterd of vervangen. Dit gebeurt door stamceltherapie of CAR-T.

### Hoe werkt stamceltherapie?

Bij stamceltherapie wordt gebruik gemaakt van stamcellen uit het bloed of beenmerg van een donor. Deze worden rechtstreeks in het lichaam van de patiënt ingebracht. Bijvoorbeeld voor de behandeling van kanker. De nieuwe stamcellen kunnen dan bloedcellen produceren die de kankercellen kunnen vervangen.

Er zijn al veel vormen van deze therapie op de markt. Een veelbelovende nieuwe ontwikkeling is die van ons portfoliobedrijf Vertex. In oktober 2023 meldde Vertex positief nieuws over een van zijn celtherapieën voor type-1 diabetes. Alle patiënten die deze celtherapie kregen, vertoonden verbetering van hun glucoseregulatie. Als de therapie veilig en effectief blijkt, is het een grote doorbraak in de behandeling van diabetes. Patiënten hoeven dan niet meer dagelijks insuline te spuiten.

### Hoe werkt CAR-T?

Chimeric Antigen Receptor T cells (CAR-T cellen) technologie wordt gebruikt voor de behandeling van kanker. Bij CAR-T worden T-cellen, een type witte bloedcel die belangrijk onderdeel is van het immuunsysteem, uit het bloed van een patiënt gehaald. Deze cellen worden genetisch gemodificeerd om specifiek de kankercellen te herkennen en te doden en dan weer teruggegeven aan de patiënt. Dat gebeurt via een infuus in een ader.

Een voorbeeld is Yescarta voor bloedkanker (lymfoom) dat in 2017 door de FDA goedgekeurd is en in 2018 in de EU.

### **Voor- en nadelen van celtherapie**

Celtherapie kan met slechts één of een paar behandelingen langdurige of permanente effecten hebben. Dit biedt hoop voor de behandeling van alle ziekten waarvoor nog geen effectieve behandeling beschikbaar is.

Net als bij elke medische behandeling zijn er potentiële risico's en bijwerkingen verbonden aan celtherapie. Bijvoorbeeld immunoreacties, ongewenste celdeling of andere onbekende effecten op lange termijn. De technologie voor celtherapie is nog volop in ontwikkeling en het is soms moeilijk te voorspellen hoe het lichaam zal reageren.

### **De toekomst**

De toekomst van celtherapie ziet er veelbelovend uit, met voortdurend ontwikkelingen en innovaties. Het is momenteel nog niet voor alle aandoeningen en patiëntengroepen geschikt, maar naar mate de kennis van celbiologie toeneemt, zullen er steeds toepassingen ontdekt worden. Bijvoorbeeld voor neurologische aandoeningen en auto-immuunziekten.