

CHDR

Centre for Human Drug Research

Het CHDR en onderzoek naar de ziekte van Parkinson

Donderdag 17 oktober 2024

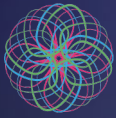
Jurrian van der Valk
Melissa Joesse



Te bespreken

- > Het CHDR
- > Geneesmiddelenonderzoek
- > Deelname aan onderzoek als patiënt
- > Onze Parkinson onderzoeken





CHDR
Centre for Human Drug Research

Geneesmiddelenonderzoek bij het CHDR



Het Centre for Human Drug Research

- › Opgericht in 1987, in Leiden
- › Stichting
- › Vroege-fase geneesmiddelenonderzoek
 - Gezonde vrijwilligers
 - Patiënten met verschillende aandoeningen
- Samenwerkingen
 - Farmaceutische bedrijven
 - (Universitaire) ziekenhuizen
 - Patiëntorganisaties

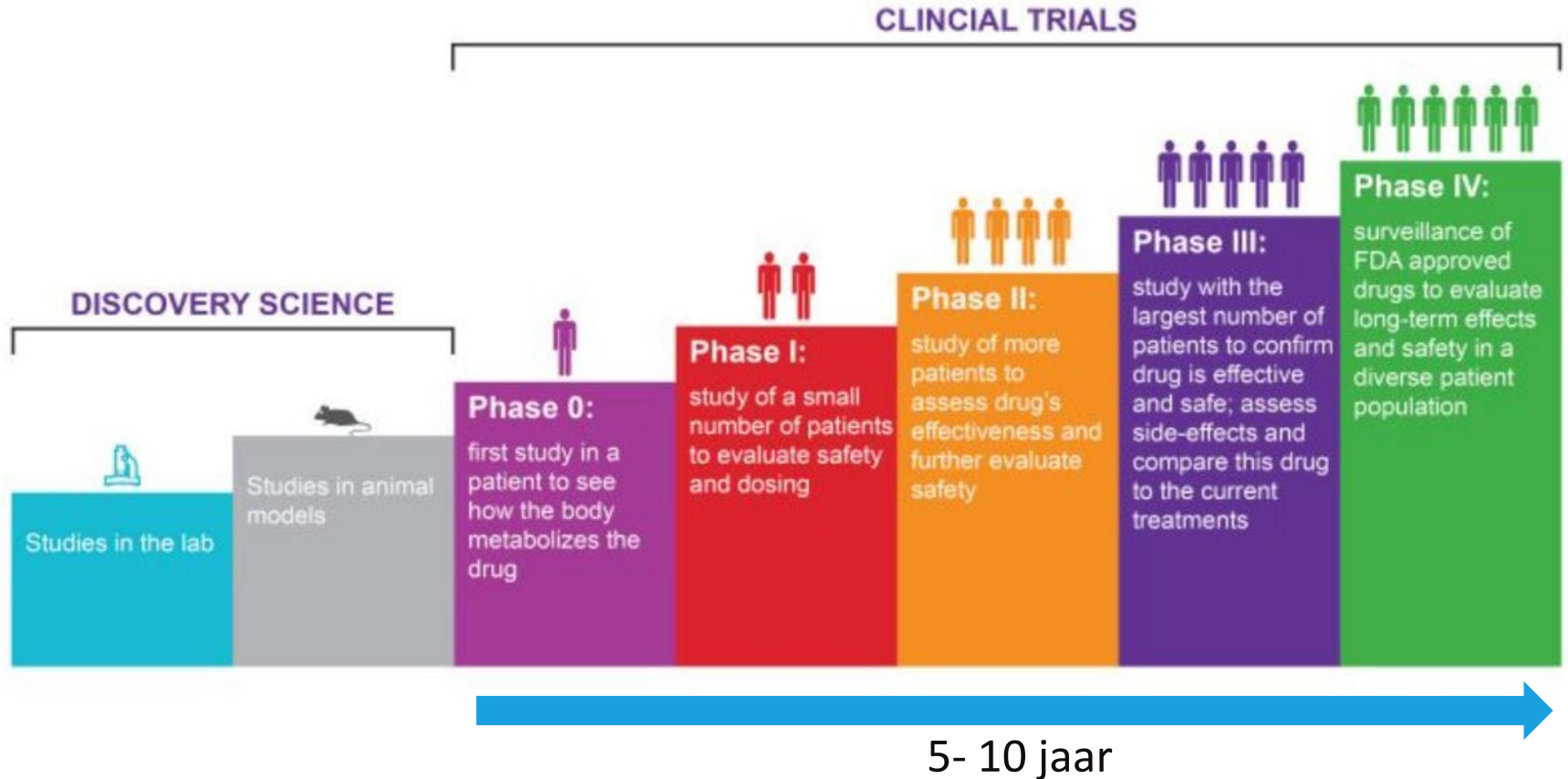


Werkwijze CHDR

- › Externe klanten:
 - Bedrijf komt bij ons met een potentieel geneesmiddel
 - Opzetten van de studie
 - Uitvoeren van de studie
- CHDR- eigen:
 - Eigen onderzoek opzetten
 - Onderzoeksmethoden ontwikkelen
 - Opleiden van artsen en promovendi

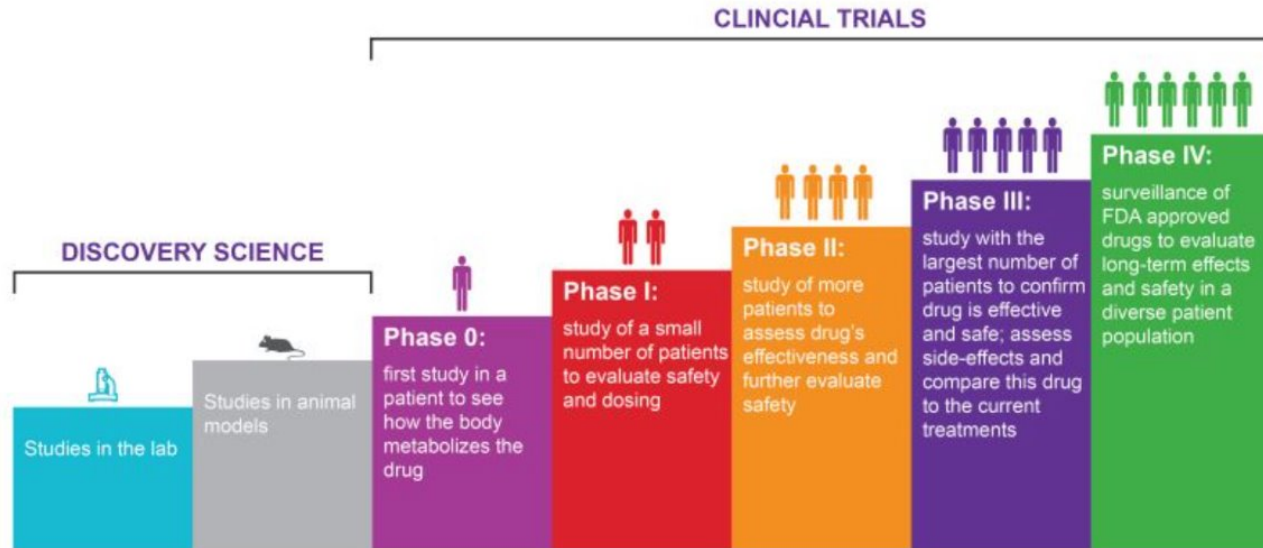


Opzet geneesmiddelenonderzoek



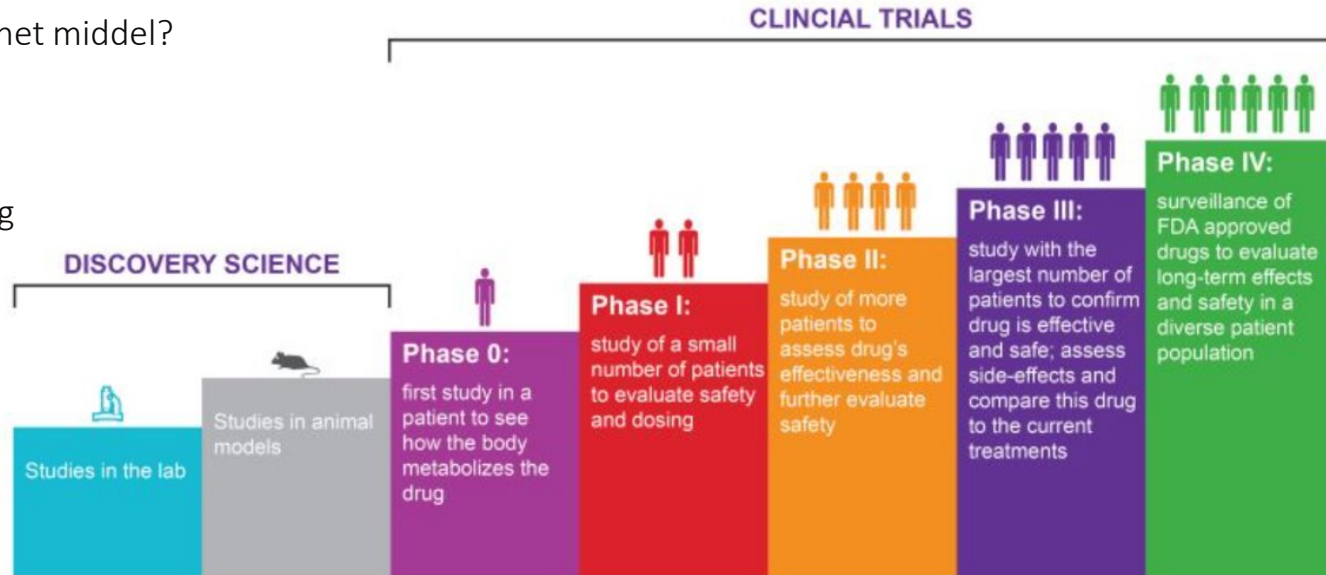
Fase 0

- › Ter voorbereiding op geneesmiddel onderzoek
- › Biomarker onderzoek
 - Meetbare indicatie/stof dat iets zegt over een toestand of ziekte
 - Verschil tussen patiënten en gezonde vrijwilligers
 - Aangrijpingspunt behandeling
- Genetisch onderzoek
 - *LRRK2*
 - *GBA1*



Fase 1

- › Eerste toediening aan mensen
- › Kleine groep gezonde vrijwilligers of patiënten
- › Veiligheid en verdraagbaarheid
 - Hoe verwerkt het lichaam het middel?
 - Bijwerkingen?
- Oplopende doseringen
 - Enkelvoudig en meervoudig



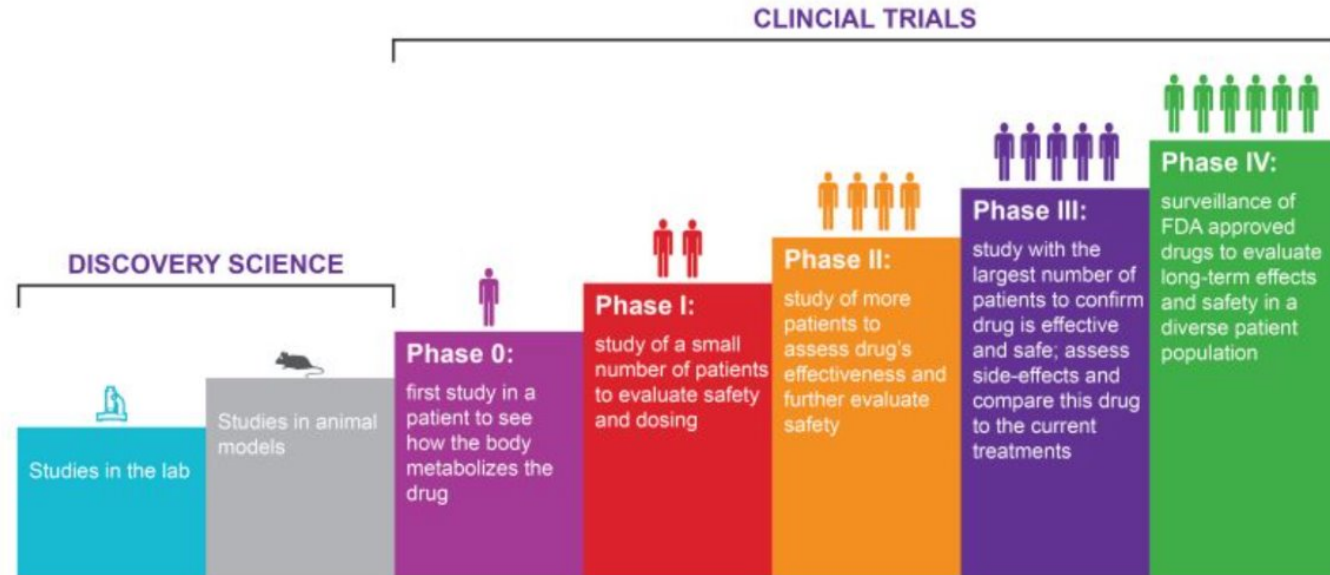
Fase 2 - 4

> Fase 2-3:

- Grotere groepen patiënten
- Bewijs voor effect
- Welke dosering?
- Lange termijn

• Fase 4:

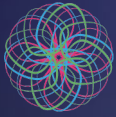
- Middel is op de markt
- Gebruik optimaliseren



Medisch-Ethische Toetsingscommissie

- › Al het onderzoek wordt beoordeeld door een onafhankelijke commissie
- › Groot dossier:
 - Onderzoeksprotocol
 - Proefpersoneninformatie
 - Advertentiemateriaal
 - Informatie over het onderzoeksmiddel
 - Vergoeding
 - ...
- Pas na goedkeuring start het onderzoek
 - Wijzigingen moeten ook goedgekeurd worden





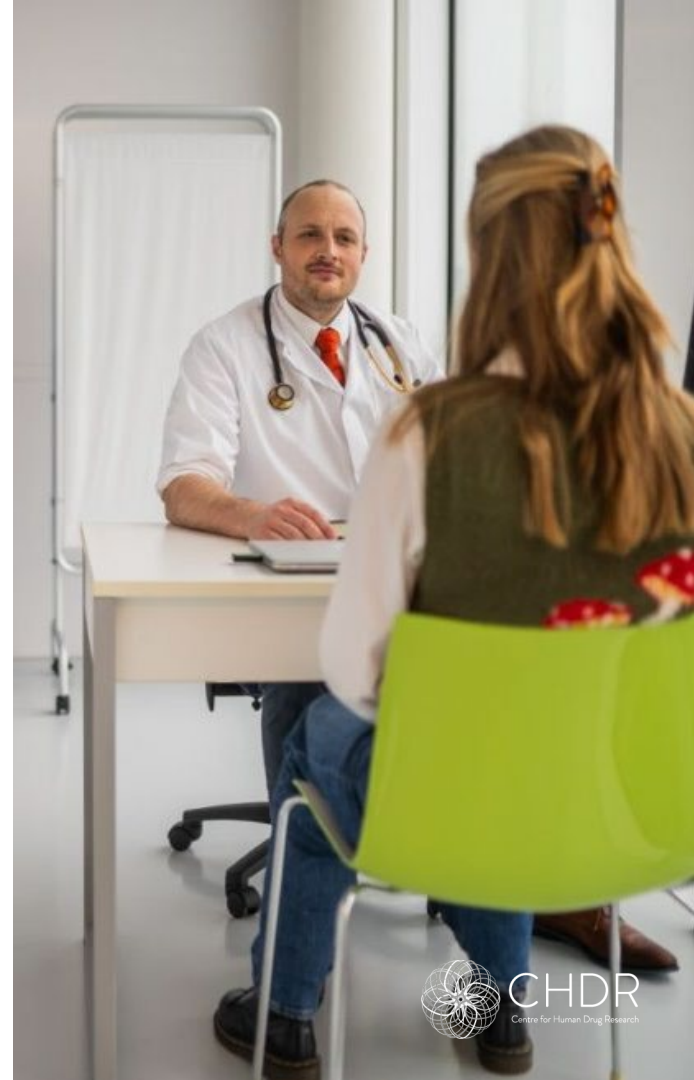
CHDR
Centre for Human Drug Research

Deelname aan onderzoek



Hoe gaat deelname in zijn werk?

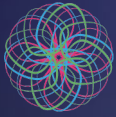
- › Vrijblijvend informatie opvragen
- › Telefonisch gesprek
- Informatiegesprek + medische keuring
 - Kunt u veilig meedoen?
- Deelname (verschillend per onderzoek)
 - Soms overnachtingen
 - Soms losse bezoeken
- Nakeuring



Vergoeding

- Deelname is altijd vrijwillig
- Vergoeding voor de tijd die deelnemer kwijt is
- Vergoeding voor bepaalde handelingen
- **Heeft niks te maken met het risico van het onderzoek!**
- Ook de vergoeding wordt door de ethische commissie beoordeeld





CHDR
Centre for Human Drug Research

Parkinson onderzoek bij het CHDR



Nieuwe geneesmiddelen

- Alfa-synucleïne klontert samen in zenuwcellen bij Parkinson
- Veroorzaakt schade in de hersenen
- UB-312 is een vaccin tegen alfa-synucleïne:
 - Lichaam ruimt alfa-synucleïne zelf op
- Schade in de hersenen voorkomen
- Eerste stap richting behandeling die Parkinson kan remmen?



▲ Door parkinson krijgen patiënten onder meer trillende handen. © Getty Images

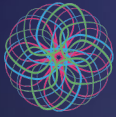
Voorzichtige doorbraak in onderzoek naar parkinson: vaccin kan ziekte mogelijk vertragen

Goed nieuws voor mensen met parkinson. Een vaccin kan de ziekte mogelijk vertragen. Al kan het nog jaren duren voordat het medicijn beschikbaar is. „Dit is een puzzelstukje in de zoektocht naar een behandeling van parkinson.”



Menu ☰

Positieve resultaten in klinische studie naar middel UB-312 bij parkinson



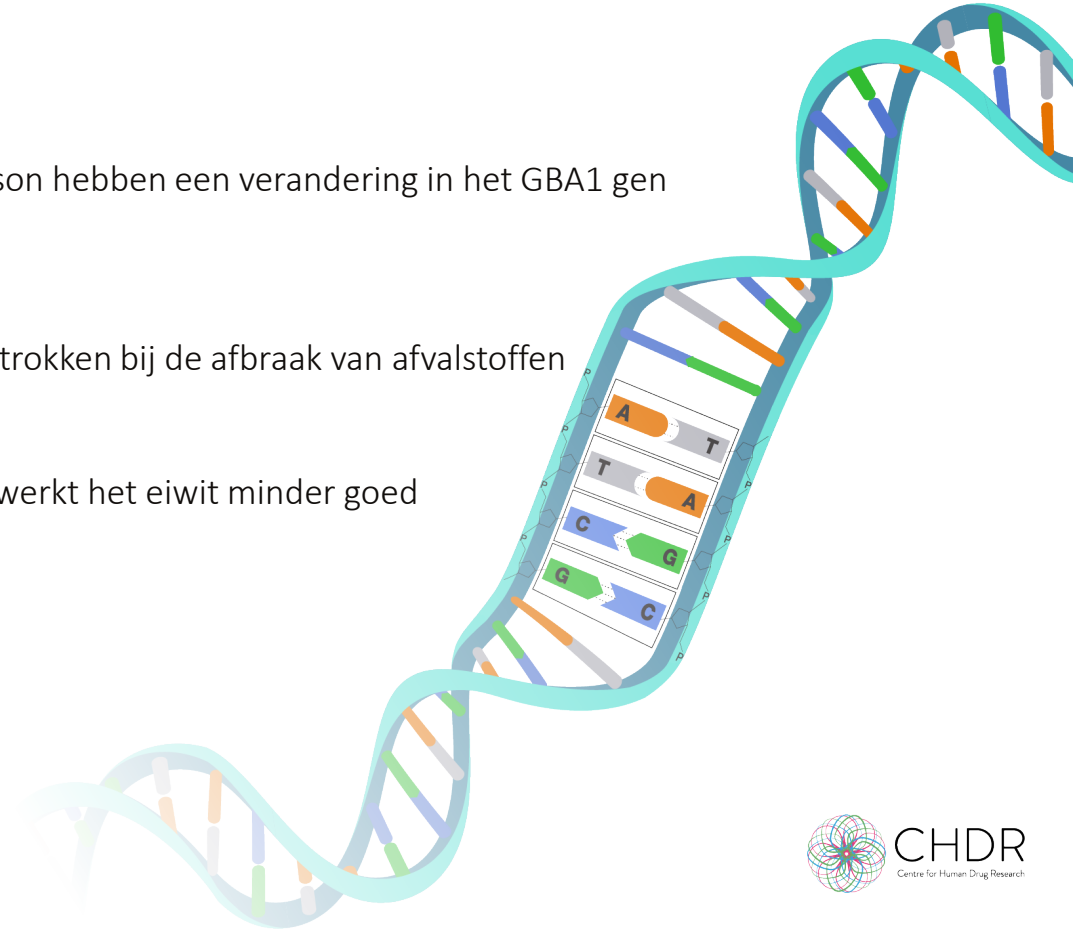
CHDR
Centre for Human Drug Research

Huidig onderzoek: Parkinson en het GBA1 gen

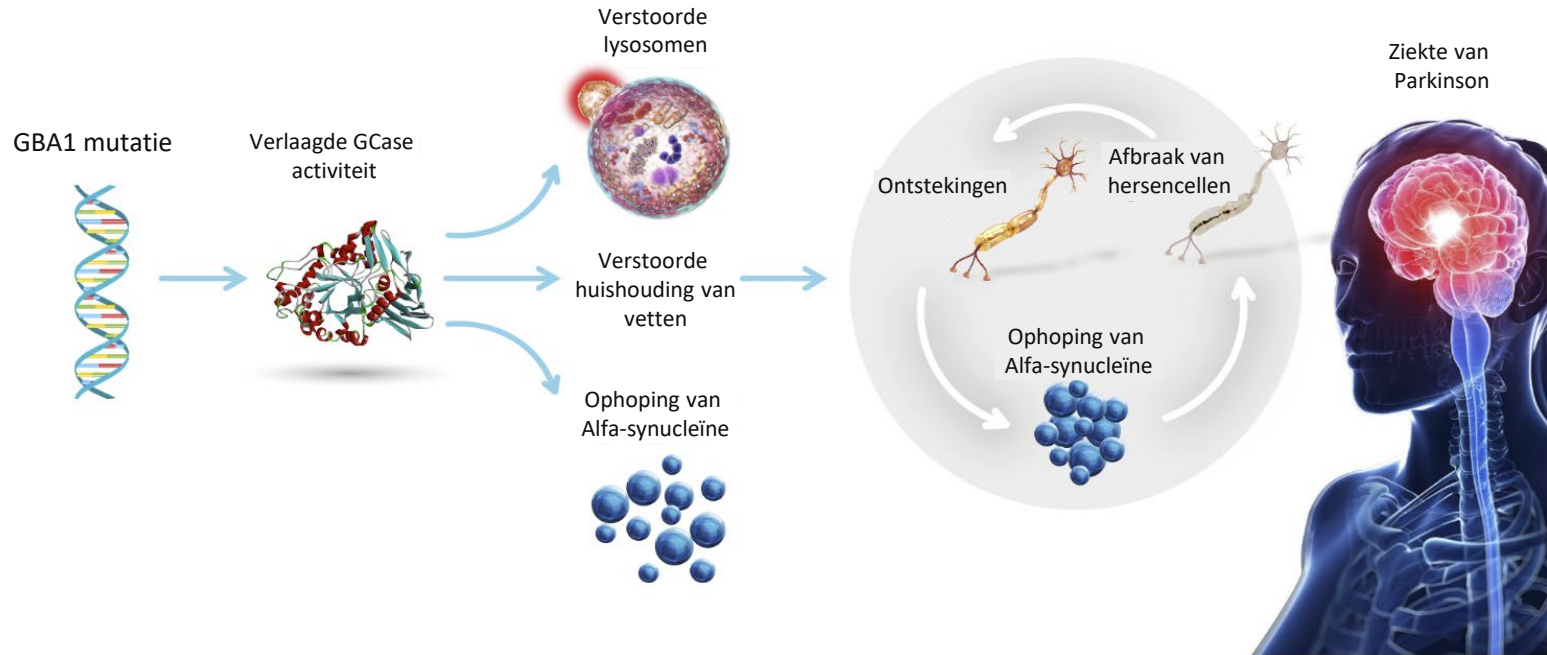


Het *GBA1* gen

- › *GBA1* gen en de ziekte van Parkinson
 - › 15% van de mensen met de ziekte van Parkinson hebben een verandering in het *GBA1* gen
- › Mogelijk aangrijpingspunt voor behandeling
- › Het *GBA1* gen codeert voor een stofje dat is betrokken bij de afbraak van afvalstoffen
 - › [GCase](#)
- › Bij een verandering (mutatie) in het *GBA1* gen werkt het eiwit minder goed en kunnen alfa-synucleïne klonters ontstaan

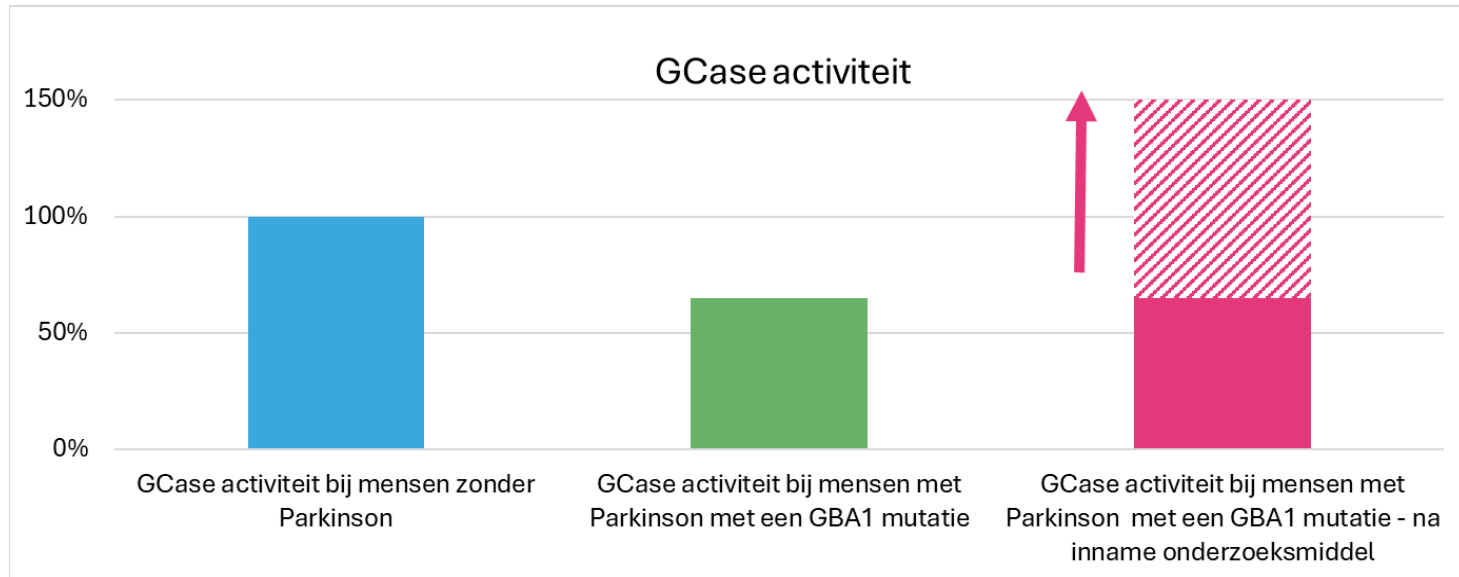


Het *GBA1* gen



Achtergrond en doel

- › Veiligheid en verdraagbaarheid
- › GCase activiteit verhogen
- › Ophoping van afvalstoffen in de hersenen remmen



Verloop van het onderzoek

- › 13 weken in totaal waarin 28 dagen achter elkaar VQ-101 of placebo wordt ingenomen
- › Medische keuring
- › Onderzoeksperiode van 3 dagen en 2 nachten
- › 3 losse bezoeken (2 uur)
- › Onderzoeksperiode van 2 dagen en 1 nacht
- › Nakeuring

Wie kunnen deelnemen?

- › Mannen en vrouwen met de ziekte van Parkinson
- › Tussen de 40 en 80 jaar
- › Met of zonder GBA1 mutatie

- › Vergoeding: €3406,00

Onderzoeken

- › Lichamelijk en neurologisch onderzoek
- › Vitale functies
- › Hartfilmpje
- › Bloedafnames
- › Urine
- › Vragenlijsten
- › Ruggenprikken (2 maal)
- › Dagboek bijhouden

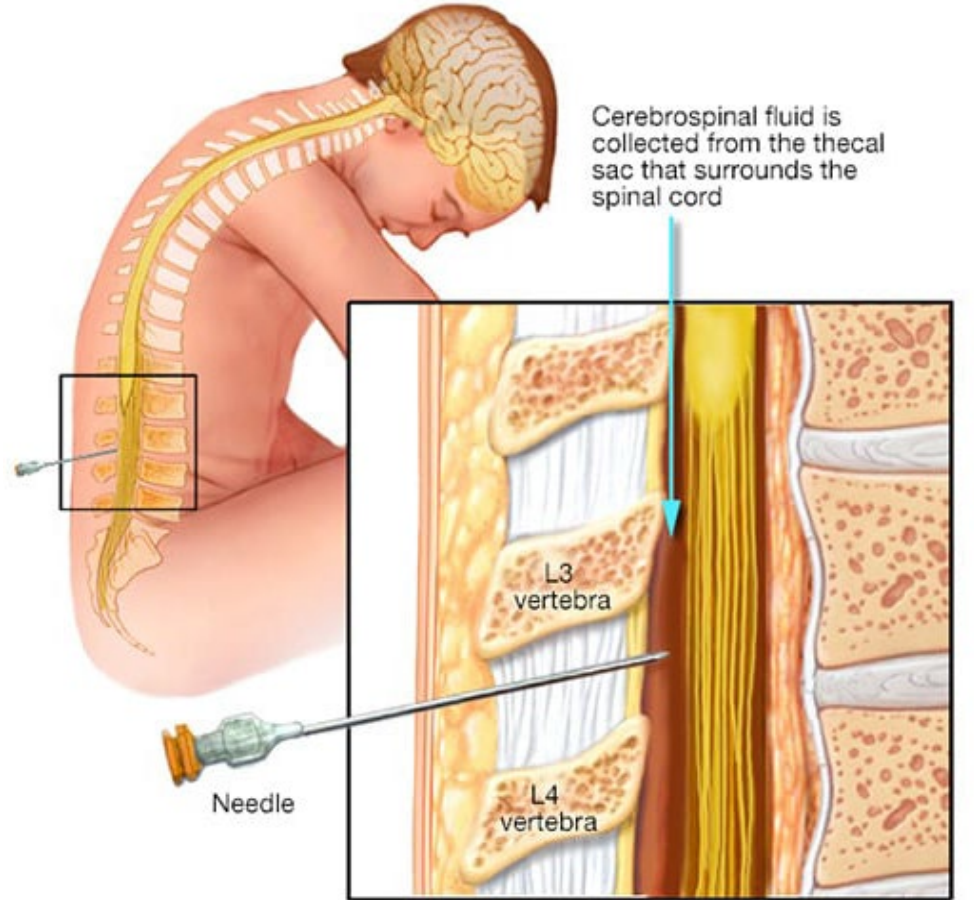


Ruggenprik

- › Hersenvocht verzamelen
- › Verdoving van de huid
- › Wordt uitgevoerd door ervaren artsen
- › Flinterdunne naald
- › Eventueel geringe hoofdpijn

- › Belangrijk om te zien of het geneesmiddel in het centraal zenuwstelsel terecht komt
- › Én of we daar effecten kunnen meten

- › [Filmpje hoe een lumbaalpunctie wordt gedaan](#)



Verlenging met VQ-101

- › Optioneel: verlenging van inname van VQ-101 van 28 dagen naar 84 dagen (8 extra weken)
- › Geen placebo
- › Elke 2 weken terugkombezoek (2 uur)
- › Onderzoekperiode van 2 dagen en 1 nacht
- › Nakeuring
- › Vergoeding: maximaal €6408,00

Komende studies

- › **CHDR2420 - Nieuw geneesmiddel**
 - › Grijpt aan op het proces achter LRRK2
- › **CHDR2366 - Biomarker onderzoek**
 - › Verschil in functie van energiefabriekjes (mitochondriën) in de cel
 - › Mensen zonder Parkinson vs. mensen met Parkinson
 - › Diagnose Parkinson op jonge vs. latere leeftijd
- › **CHDR2315 - Biomarker onderzoek**
 - › Veranderingen in netvlies
 - › Gezonde vrijwilligers, mensen met Parkinson en mensen met Alzheimer



Wat kunt u doen?

- › Vrijblijvend aanmelden om op de hoogte gehouden te worden van onze onderzoeken
- › Denk aan de belastbaarheid
 - Per studie anders
- Per definitie: deelname is altijd vrijwillig
 - U kunt elk gewenst moment stoppen
- **We kunnen geen onderzoek doen zonder vrijwilligers!**



Helpen? Meer informatie?

Flyers met informatie liggen klaar

www.Proefpersoon.nl/Parkinson

Parkinson@chdr.nl

071-524 64 64



CHDR

Centre for Human Drug Research