

Voorzitter: prof.dr.ir. B.C.J. Zoeteman

Aan de Staatssecretaris van  
Volkshuisvesting, Ruimtelijke Ordening  
en Milieubeheer  
De heer drs. P.L.B.A. van Geel  
Postbus 30945  
2500 GX Den Haag

Uw kenmerk

Uw brief van

Kenmerk

Datum

CGM/050222-01

22 februari 2005

Onderwerp

Signalering ontwikkelingen gentherapie

Geachte heer Van Geel,

Hierbij bied ik u het onderzoeksrapport "Gentherapie: lessen uit het verleden en een blik in de toekomst, met een focus op de Nederlandse situatie" aan dat in opdracht van de Commissie Genetische Modificatie (COGEM) is opgesteld door Dr. L.C.M. Kaptein, onder supervisie van Prof. dr. R.C. Hoeben (Leids Universitair Medisch Centrum).

De COGEM heeft een verkenning laten uitvoeren naar de stand van zaken en nieuwe trends op het terrein van de gentherapie. Bij gentherapie wordt erfelijk materiaal in cellen gebracht om zo een 'gezond' gen toe te voegen of om een defect gen te repareren. Oorspronkelijk was gentherapie ontwikkeld voor de behandeling van aangeboren ziekten waarbij één enkel gen verantwoordelijk is. Tegenwoordig wordt gentherapie ook toegepast bij andere aandoeningen zoals kanker, infectieziekten en hart- en vaatziekten. Vooral in de beginjaren waren de verwachtingen van gentherapie hoog gespannen. Na enkele incidenten met nadelige bijwerkingen in patiënten zijn de verwachtingen enigszins bijgesteld. Sinds het begin van gentherapie zijn in Nederland bijna 20 gentherapieprotocollen van start gegaan en zijn er wereldwijd bij tenminste 830 studies ruim 5000 patiënten behandeld.

Het onderzoeksrapport, dat gebaseerd is op literatuurstudie en interviews met deskundigen, geeft een geactualiseerd overzicht van ontwikkelingen en trends in gentherapie in Nederland en de rest van de wereld. De COGEM signaleert dat de nieuwe trends met name zijn te vinden in het verbeteren van de techniek met het oog op risicobeperking. Getracht wordt om gentherapie specifiek, efficiënter en veiliger te maken.

Het analyseren en inschatten van de milieurisico's van gentherapie zal mede bepalend zijn voor het succes van deze therapie. Een van de milieurisico's van gentherapie is de kans dat toegediende gentherapeutica uit de patiënt in het milieu vrijkomen. Mensen en dieren in de omgeving van de patiënt kunnen vervolgens onbedoeld geïnfecteerd

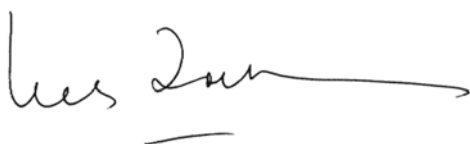
raken. Voor het testen op uitscheiding worden vaak verschillende detectiemethoden in de diverse genterapieprotocollen toegepast. De COGEM signaleert dat voor een verdere ontwikkeling van genterapie het opzetten en ontwikkelen van databanken met dergelijke gegevens van belang is. Door de diversiteit van de onderzoeksprotocollen wordt de interpreteerbaarheid van de resultaten van de testen op uitscheiding bemoeilijkt, en daarmee toekomstige risico-analyse. Derhalve is de COGEM een vervolgonderzoek gestart met het oog op het standaardiseren van testen op uitscheiding om zo de interpreteerbaarheid van de testresultaten te bevorderen en om meer inzicht te krijgen in de veiligheid van genterapie. Het resultaat van het project kan tevens handvatten bieden voor het opstellen van richtlijnen omtrent uitscheiding.

Tevens signaleert de COGEM een andere opmerkelijke trend die naar voren komt in het onderzoeksrapport. In de toekomst zal meer aandacht uit gaan naar de genetische achtergrond van de te behandelen patiënten. Hiermee kan voorzien worden welke patiënten meer baat zullen hebben bij genterapie, waardoor de behandeling effectiever wordt.

Voorts merkt de COGEM op dat het wenselijk is om de informatie over Nederlandse genterapieprotocollen breder toegankelijk te maken. Hierbij wordt gedacht aan informatie over bijvoorbeeld lopende genterapiestudies, verantwoordelijke onderzoekers, aantallen deelnemende patiënten, protocollen en gegevens van uitscheiden. Lang niet altijd worden gegevens uit klinische studies openbaar gemaakt, mede gezien de geldende afspraken op het gebied van privacy wet- en regelgeving. Inmiddels is, ten tijde van de publicatie van het onderzoeksrapport, de bioveiligheid website van het Ministerie van VROM grotendeels van de betreffende informatie voorzien. Het is daarbij wenselijk om ook informatie over gegevens uit de studie, zoals uitscheiding, middels dit instrument kenbaar te maken. Publicaties over genterapiestudies lopen vaak sterk achter bij de huidige stand van zaken. Hierdoor zal, ook als gevolg van de snelle technologische ontwikkelingen op het gebied van genterapie, de COGEM haar adviezen niet altijd kunnen baseren op gegevens uit de wetenschappelijke literatuur.

Tot slot signaleert de COGEM dat de informatie over genterapieprotocollen internationaal aantrekkelijk dient te worden door vertaling in het Engels, waardoor de zichtbaarheid van de expertise van Nederland in onder andere Europa vergroot wordt. Mede gezien het gegeven dat genterapiestudies veelal internationale samenwerkingen betreffen, verdient het aanbeveling om de harmonisatie van de beoordeling en procedures voor genterapiestudies tussen de Europese lidstaten te stimuleren.

Hoogachtend,



Prof. dr. ir. B.C.J. Zoeteman,  
voorzitter COGEM