

# Taiored

## Onderzoek naar het ontwikkelen van behandelingen op maat

Hallo! Wij zoeken mensen die mee willen praten over behandelingen op maat voor zeldzame ontwikkelingsaandoeningen. Dit is onderdeel van onderzoek naar de ontwikkeling van medicijnen die zich richten op het RNA, ook wel ASO therapie genoemd.

Wat voor ideeën en zorgen heb jij over het behandelen van zeldzame ontwikkelingsaandoeningen? Wat vind jij van ASO therapie? Voor wie is het? En hoe zou een behandeling er uit moeten zien?

**Wil jij ons helpen of wil je meer informatie?**  
Neem contact op via [therapieopmaat@erasmusmc.nl](mailto:therapieopmaat@erasmusmc.nl)



Online vragenlijsten   Eén-op-één interviews   Groepsgesprekken

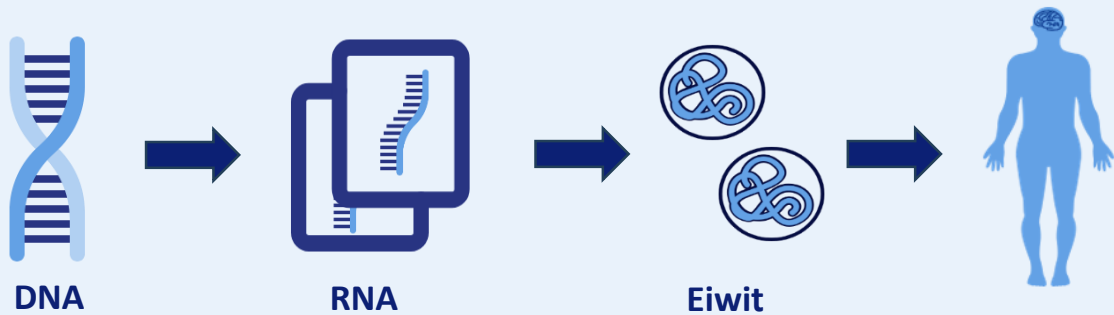
### Op welke ziektes richten we ons onderzoek?

- Dravet syndroom
- Angelman syndroom
- Tubereuze sclerose complex
- Syngap1 syndroom
- De ziekte van Batten
- Costello syndroom
- Spinocerebellaire ataxie
- **Andere geschikte ziektes!**

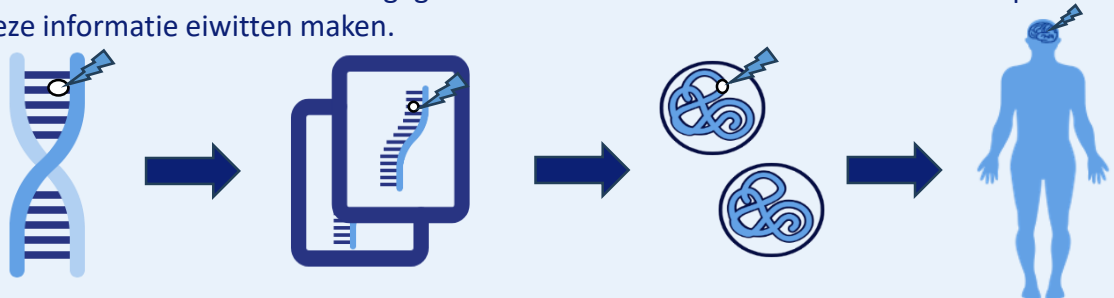
### Wie willen we spreken?

- Ouders en verzorgers
- Patiëntenverenigingen
- Mensen met een erfelijke ontwikkelingsaandoening
- Behandelaren
- Beleidsmakers
- Onderzoekers van ASO therapie
- Ontwikkelaars & bedrijven

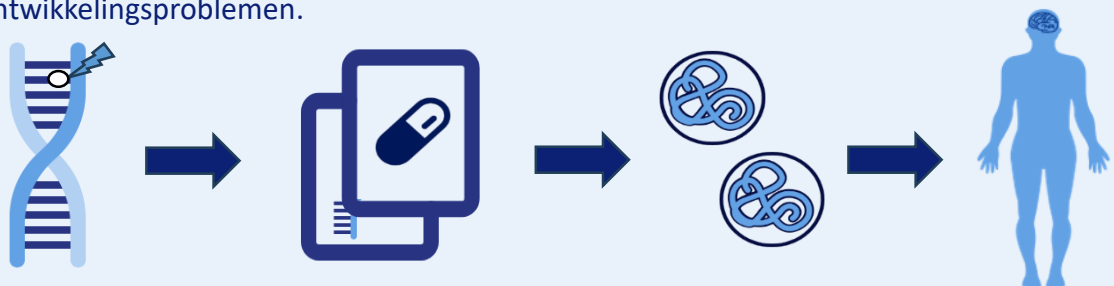
## Wat is antisense (ASO) therapie?



Het DNA is een soort recept voor eiwitten, de bouwstenen in ons lichaam. Het zorgt er voor dat eiwitten op de juiste manier en in de goede hoeveelheid worden aangemaakt. Er worden eerst kopieën van een deel van het DNA gemaakt. Deze kopieën noemen we RNA. Het RNA wordt dan doorgegeven aan “fabrieken” van onze cellen die op basis van deze informatie eiwitten maken.



Veranderingen in het DNA kunnen er voor zorgen dat er te veel of te weinig eiwit gemaakt wordt of dat het eiwit niet op de juiste manier werkt. Dit kan leiden tot een ziekte. In dit onderzoek richten we ons op aandoeningen van de hersenen waarbij dit gebeurt, zoals bijvoorbeeld sommige erfelijke vormen van epilepsie of andere erfelijke ontwikkelingsproblemen.



Een antisense oligonucleotide past de boodschap die het RNA overbrengt aan of breekt foute RNA kopieën af, zonder het DNA aan te passen. Voor sommige aandoeningen kan hiermee de hoeveelheid of de werking van de eiwitten herstelt worden. Deze RNA therapie vermindert hopelijk ook de klachten van de aandoening.

RNA therapie kan gemaakt worden voor een groep personen of voor één persoon specifiek, dat noemen we een behandeling op maat. Wij willen weten wat mensen hiervan vinden en hoe en voor wie we dit soort behandelingen zouden moeten ontwikkelen.

Praat met ons over deze behandelingen op maat!

Vragen? Neem contact op via [therapieopmaat@erasmusmc.nl](mailto:therapieopmaat@erasmusmc.nl)