



Leids Universitair  
Medisch Centrum

A close-up photograph of a person wearing a blue surgical cap and a white face mask. Only their eyes and part of their nose are visible. They are looking towards the right of the frame. The background is blurred, showing what appears to be a medical setting with a green object.

Steun ons  
onderzoek naar het  
Levend Geneesmiddel

[www.levendgeneesmiddel.nl](http://www.levendgeneesmiddel.nl)



# De geneeskundige kracht van levende cellen.

De geneeskundige kracht van levende cellen. Mijn volwassen leven was net begonnen, ik zat vol plannen. In één keer werd dat afgekapt. Het werd overleven, in plaats van leven. Er volgde een lange periode van behandelingen en een stamceltransplantatie met cellen van mijn broer. Nu het weer goed met me gaat, zet ik me graag in om steun te zoeken voor onderzoek naar het Levend Geneesmiddel.

Jan Paul van der Tang (38) kreeg als 22-jarige leukemie.

# Inleiding

**Zo'n vierduizend mensen worden jaarlijks getroffen door leukemie, lymfklierkanker of de ziekte van Kahler. Deze vormen van kanker van de bloedcellen of afweercellen hebben een grote impact op het leven van een patiënt.**

**D**e behandeling is vaak zwaar, langdurig en gecompliceerd. Onderzoekers van het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC) werken aan een veelbelovende nieuwe behandelmethode voor deze patiënten: het 'Levend Geneesmiddel'. Speciaal geselecteerde en bewerkte afweercellen van een gezonde donor worden hierbij gebruikt voor de ontwikkeling van een nieuw soort geneesmiddel. In het lichaam van de patiënt gaan de cellen de strijd aan met kwaadaardige cellen en infecties.

De nieuwe behandeling wordt inmiddels door het LUMC toegepast bij patiënten. De resultaten zijn veelbelovend. Het LUMC werkt hiervoor samen met collega's uit onder meer Duitsland en Groot-Brittannië. Elke patiënt krijgt een eigen, op maat gemaakt, geneesmiddel. Dat is kostbaar en tijdrovend om te produceren. Om het onderzoek te kunnen versnellen en meer patiënten te kunnen behandelen is extra geld nodig. Uw donatie draagt rechtstreeks bij aan de ontwikkeling van het Levend Geneesmiddel. In deze brochure leest u alles over het onderzoek en over hoe u als donateur het verschil kunt maken.

**Help Leiden leukemie bestrijden!**

Meer informatie over het onderzoek en over hoe u kunt doneren vindt u op [www.levendgeneesmiddel.nl](http://www.levendgeneesmiddel.nl) De afdeling Hematologie van het LUMC organiseert regelmatig informatiebijeenkomsten en presentaties. Maar ook een persoonlijk gesprek is mogelijk. U kunt ons bereiken via telefoonnummer 071 526 2271. Of stuur de antwoordkaart in (zie achterzijde).

Steun het onderzoek naar het Levend Geneesmiddel. Bijvoorbeeld door zelf een actie op te zetten. Kijk hiervoor op [www.levendgeneesmiddel.nl](http://www.levendgeneesmiddel.nl). Dankzij uw bijdrage kan ons team van topwetenschappers het onderzoek voortzetten.

# Levensreddende cellen

## Wat is het Levend Geneesmiddel?

**H**et gebruik van levende cellen om patiënten te behandelen is niet nieuw. Bij de behandeling van kanker van de bloedcellen, zoals leukemie, wordt stamceltransplantatie al een tijd lang toepast. De zieke bloed- en afweercellen van de patiënt worden daarbij vervangen door gezonde cellen van een donor. Dat gebeurt door de transplantatie van stamcellen van de donor. Zij groeien in de patiënt uit tot gezonde bloedvormende cellen en afweercellen. Bij zo'n transplantatie treden er echter vaak complicaties op. De afweercellen van de donor vallen soms alles aan wat vreemd is. Ze maken dan niet alleen de kankercellen van de patiënt kapot, maar ook gezonde cellen. Onderzoekers van het LUMC zijn gaan onderzoeken hoe die ongewenste reacties ontstonden. Wat bleek? Bij patiënten die goed reageerden op een transplantatie waren sommige afweercellen van de donor in staat specifiek de kankercellen op te ruimen. Deze afweercellen gingen heel gericht te werk, waardoor er geen schade aan gezonde weefsels optrad. Als je nu bij een stamceltransplantatie ervoor kunt zorgen dat alleen die afweercellen meeko-

men die de zieke bloedcellen van de patiënt herkennen en opruimen en de strijd aangaan met virussen, dan kun je met recht spreken van een levend geneesmiddel. En dat is waar het LUMC aan werkt.

## Hoe ziet het onderzoek eruit?

In het laboratorium gaan de onderzoekers in het donormateriaal op zoek naar de afweercellen die het gewenste effect geven. Deze cellen selecteren en isoleren ze. Maar soms is er meer nodig. Dan moeten de afweercellen van de donor getraind worden, zodat ze de kankercellen of geïnfecteerde cellen leren herkennen. De cellen die dat geleerd hebben, kunnen aan de patiënt worden toegediend. Een andere strategie is het genetisch veranderen van donorafweercellen. Afweercellen krijgen daarbij een stukje genetische code dat ze geschikt maakt om precies de gewenste virussen of kwaadaardige cellen te herkennen.

## Profiteren er al veel patiënten van het Levend Geneesmiddel?

De vertaalslag van het laboratorium naar de kliniek is heel belangrijk. Inmiddels zijn tientallen patiënten met succes behandeld met afweercellen van de donor, die door de

onderzoekers in het laboratorium werden geselecteerd. Deze selectiemethode wordt door de onderzoekers zo verfijnd dat het mogelijk moet worden het systeem te automatiseren. Dat zou de behandeling beschikbaar maken voor veel grotere groepen patiënten.

## Wat maakt het LUMC zo goed uitgerust voor dit onderzoek?

Het LUMC is erg goed in de wisselwerking tussen laboratorium en kliniek. Onderzoekresultaten kunnen snel worden toegepast bij patiënten. En de resultaten hiervan kunnen weer gebruikt worden voor verder laboratoriumonderzoek. Zo kan het team continu blijven verbeteren. Het LUMC beschikt over een zeer gespecialiseerd laboratorium waar eigen cellulaire producten kunnen worden gemaakt. Ook heel waardevol is de uitgebreide kennis en ervaring van het team. Al ruim twintig jaar verdiepen onderzoekers van het LUMC zich in dit onderwerp.

## Waarom is het belangrijk om financieel bij te dragen?

Onderzoek naar het Levend Geneesmiddel is belangrijk. Dat erkennen ook subsidieverstrekkers. Het onderzoek krijgt geld van de overheid en van de EU voor de lopende studies. Maar dat is niet voldoende. Het is tijd dat het Levend Geneesmiddel nu snel beschikbaar komt voor grote groepen patiënten. Voor die schaalvergroting en het versnellen en telkens verbeteren van het proces is geld nodig. Zo kunnen de onderzoekers blijven ontdekken en innoveren en blijft de wisselwerking tussen patiënt en onderzoek in stand. Momenteel lopen er binnen het onderzoek een aantal deelprojecten. Stuk voor stuk belangrijke onderdelen, waarin bijvoorbeeld wordt onderzocht hoe patiënten op een milde manier en zo snel mogelijk kunnen worden voorbereid op een stamceltransplantatie. En hoe afweercellen efficiënter en slimmer kunnen worden getraind. Aanvullende financiering is hiervoor essentieel.

## Wat kunnen wij realiseren met uw bijdrage?

- Voor € 10.000 beschikt een onderzoeker een jaar lang over alle voor het onderzoek essentiële nieuwe materialen en apparatuur.
- Voor € 25.000 kunnen wij deelonderzoek naar de behandeling van patiënten uitvoeren met een student-fellowship.
- Voor € 45.000 kunnen wij een jaar lang een research analist inzetten, die een nieuwe toepassing kan ontwikkelen.
- Voor € 60.000 per jaar kunnen we een onderzoeker aanstellen. Dit kan in de vorm van een fellowship, waaraan uw naam is verbonden.

Als je hoort dat je leukemie hebt, dan zakt de bodem onder je bestaan compleet weg. Gelukkig heeft de behandeling heel goed uitgedaagd, en heb ik nauwelijks last gehad van complicaties. Dankzij het Levend Geneesmiddel kon ik mijn leven snel weer oppakken. Ik werk weer, geniet weer van het leven. Dat wens ik voor iedere patiënt. Daarom is het zo belangrijk dat dit onderzoek door kan gaan.

Monique van Engelen (46) werd in 2008 als een van de eersten behandeld met het Levend Geneesmiddel.

# Onderzoek met vele facetten

## *Deelprojecten*

Het onderzoek naar het Levend Geneesmiddel kent vele facetten. Hoe zorg je dat afweercellen alleen kwaadaardige cellen te lijf gaan? Hoe selecteer je de beste afweercellen? En waarom werkt een behandeling wel bij de ene patiënt, maar niet bij de andere? Hieronder leest u meer over de zes deelprojecten binnen het Levend Geneesmiddel. En leert u de betrokken onderzoekers kennen.

### **Beter voorbereid de strijd aangaan**

**A**ls een patiënt stamcellen krijgt van een donor, kunnen complicaties ontstaan. De afweercellen van de patiënt kunnen de stamcellen van de donor afstoten. Om dit te voorkomen wordt de patiënt voorbehandeld met diverse middelen. Dit is een ingewikkeld proces. De afweercellen van de patiënt mogen de donorcellen niet langer afstoten. Maar als het afweersysteem van de patiënt helemaal stil ligt, kan het niet de strijd aangaan met virussen.

Het doel van dit deelonderzoek is om de voorbehandeling van patiënten in aanloop naar een donor stamceltransplantatie verder te verbeteren. Dit is mogelijk door een combinatie te maken van nieuwe en bestaande middelen. De voorbehandeling wordt zo specifieker, milder, en sluit beter aan op de vervolgbehandeling met donor afweercellen.

### **Op zoek naar de beste afweercellen**

In de eerste maanden na een stamceltransplantatie is een patiënt erg vatbaar voor infecties met virussen en schimmels. Het is onderzoekers van het LUMC gelukt uit het bloed van de stamceldonor functionele afweercellen te isoleren die veilig aan de patiënt kunnen worden gegeven. Afweercellen die in staat zijn virussen op te sporen en op te ruimen. De volgende stap is het geschikt maken van deze methode om afweercellen te isoleren tegen een grotere diversiteit aan virussen. Niet alle donoren hebben de juiste afweercellen in hun bloed. Samen met Sanquin gaan de onderzoekers op zoek naar geschikte bloeddonoren. In het laboratorium kijken zij of het mogelijk en veilig is ook afweercellen van bloeddonoren te gebruiken voor de behandeling van infecties in patiënten die een stamceltransplantatie hebben ondergaan.

### **Selectie en training afweercellen tegen tumoren**

Na een stamceltransplantatie kunnen donor-afweercellen kwaadaardige cellen in het bloed van de patiënt herkennen en opruimen. In het ideale geval laten deze afweercellen gezonde cellen met rust. Het team van het Levend Geneesmiddel heeft ontdekt dat het mogelijk is om afweercellen van een donor zo te selecteren en/of trainen dat zij alleen specifieke cellen aanvallen. De onderzoekers gaan nu uitzoeken of nieuwe isolatietechnieken het selecteren en trainen van cellen kunnen vereenvoudigen en geschikt maken voor gebruik bij grote groepen patiënten.



## Genetisch veranderen afweercellen

Afweercellen gaan de strijd aan met lichaamsvreemde cellen. Om 'vreemd' van 'zelf' te onderscheiden gebruiken deze cellen een herkenningsstructuur (receptor) op hun celoppervlak. Eerder ontdekten de onderzoekers dat het door middel van gentherapie mogelijk is zo'n herkenningsstructuur over te zetten van de ene naar de andere afweercel. Op deze manier kunnen donor-afweercellen zo worden uitgerust dat ze specifiek de kwaadaardige cellen van de patiënt kunnen opsporen en opruimen. Doel van dit deelonderzoek is het identificeren van een grote serie receptoren en het geschikt maken van de techniek om afweercellen genetisch te veranderen voor gebruik bij grote groepen patiënten.

## Het doelwit in kaart

Afweercellen gebruiken een herkenningsstructuur (receptor) op hun celoppervlak om vreemde structuren op cellen te herkennen. De onderzoekers willen weten welke structuren specifiek op de kwaadaardige cellen van de patiënt voorkomen, maar niet op de gezonde cellen. Ze gebruiken daarvoor een nieuwe, zelf doorontwikkelde techniek. Hiermee kunnen snel en efficiënt veel van deze structuren in kaart worden gebracht. Hoe meer structuren bekend zijn, hoe beter de onderzoekers weten welke afweercellen ze waar in kunnen zetten.

## Waarom werkt het wel of niet?

Bij sommige patiënten werkt een behandeling met het Levend Geneesmiddel veel beter dan bij andere. Om uit te vinden hoe dat komt gaan de onderzoekers de behandeling bij patiënten met specifiek gunstige of juist ongunstige effecten diepgaand analyseren. De nieuwe inzichten kunnen worden gebruikt om de innovatieve behandeling met selectieve donor afweercelpopulaties verder te ontwikkelen en verbeteren.

## DE ONDERZOEKERS

**Dr. Inge Jedema is hoofd van het laboratorium waar het Levend Geneesmiddel wordt gemaakt.**

*"Ons laboratorium is uniek. We kunnen er onder optimale omstandigheden speciaal uitgeruste afweercellen voor patiënten maken. De afweercellen blijven onderdeel van de patiënt, en kunnen levenslange bescherming bieden, ook als de ziekte terugkomt. Het Levend Geneesmiddel kan levens redden.*

*Subsidies zijn er vaak vooral voor nieuw en vernieuwd onderzoek. Maar de fase die eraan komt, de fase waarin onderzoek toepasbaar wordt gemaakt voor de kliniek, is er een van de lange adem. Om de continuïteit te kunnen garanderen hebben we extra geld nodig."*

**Dr. Peter van Balen vormt als arts de schakel tussen het laboratorium en de patiënt.**

*"We zien bij een aantal van onze patiënten dat het Levend Geneesmiddel echt werkt.*

*Virussen en nog aanwezige bloedcellen van de patiënt worden aangevallen, terwijl gezonde lichaamscellen met rust gelaten worden. Er overlijden nog steeds te veel patiënten aan de bijwerkingen van stamceltransplantatie, en dat kunnen we hiermee verminderen. We werken er hard aan het Levend Geneesmiddel voor veel meer patiënten bereikbaar te maken."*

**Dr. Marieke Griffioen doet onderzoek naar de manier waarop afweercellen kwaadaardige cellen herkennen.**

*"Stamceltransplantatie is gericht op genezing van leukemie. Maar door soms ernstige bijeffecten kan het slechts beperkt worden toegepast. Dankzij dit onderzoek krijgen we steeds meer inzicht in het immuunsysteem, en meer handvatten om geschikte afweercellen te selecteren. Ons doel, patiënten met leukemie genezen zonder ernstige bijwerkingen, komt zo hopelijk dichterbij."*

**Dr. Mirjam Heemskerk onderzoekt manieren om afweercellen genetisch te veranderen.**

*"We willen dit onderzoek graag voortzetten. Ik verwacht dat we er veel patiënten echt mee kunnen helpen. Niet alleen leukemiepatiënten, maar ook mensen met andere vormen van kanker. Maar de weg van laboratorium naar patiënt is lang. Je moet investeren in de continuïteit van je team, zodat er geen expertise verloren gaat. Extra financiering is echt nodig."*

## Doelfonds Leukemie van de Bontius Stichting

De afdeling Hematologie van het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC) zoekt naar nieuwe wegen om de behandeling van patiënten met leukemie, lymfklierkanker of multipel myeloom effectiever te maken. Het gaat om tijdrovend en dus kostbaar onderzoek. De noodzakelijke extra middelen worden geworven door het Doelfonds Leukemie, dat deel uitmaakt van de Bontius Stichting. Deze stichting organiseert en coördineert alle fondsenwervende activiteiten ten behoeve van wetenschappelijk onderzoek in het LUMC. Donaties die voor een specifiek project zijn bedoeld, komen uiteraard uitsluitend daaraan ten goede. Dankzij onze ANBI-status zijn er aan giften fiscale voordelen verbonden. [www.bontiusstichting.nl](http://www.bontiusstichting.nl).

# Hoe kunt u helpen?

## ANTWOORDKAART

Vul hieronder uw gegevens in en stuur de antwoordkaart in een envelop op naar Doelfonds Leukemie van de Bontius Stichting, LUMC, Postzone C2R-140, Antwoordnummer 10392, 2300 WB LEIDEN. Een postzegel is niet nodig.

### Uw keuze:

- Ik wil graag een persoonlijke afspraak maken
- Ik wil graag de data van de bijeenkomsten weten
- Ik wil deze informatie digitaal ontvangen  
(vul hieronder uw e-mailadres in)
- Ik wil een financiële bijdrage leveren

Naam \_\_\_\_\_

Adres \_\_\_\_\_

Postcode \_\_\_\_\_

Woonplaats \_\_\_\_\_

Telefoonnummer \_\_\_\_\_

E-mailadres \_\_\_\_\_



Doelfonds Leukemie van de  
Bontius Stichting  
Stafsecretariaat Hematologie  
Leids Universitair Medisch Centrum  
C2R-140 Postbus 9600  
2300 RC LEIDEN  
071 - 526 2271

[www.levendgeneesmiddel.nl](http://www.levendgeneesmiddel.nl)  
[www.bontiusstichting.nl](http://www.bontiusstichting.nl)  
IBAN NL35 INGB 0000 115111  
t.n.v. Bontius Stichting – Doelfonds  
Leukemie



**Matthijs de Visser (45) doneert  
naast bloed ook stamcellen.**