

Mogelijke genezing voor type 1 diabetespatiënten

In preklinische studies werd aangetoond dat transplantaten van PEC-Direct (ook gekend als VC-02) insulineproducerende cellen kunnen genereren die de bloedsuikerwaarden onder controle houden. Deze eerste Europese klinische studie onderzoekt nu hun potentieel bij type 1 diabetespatiënten die hun bèta cellen in de pancreas hebben verloren en daardoor de eigen controle van hun bloedsuikerspiegel. Voor deze groep patiënten kan een bèta cel vervangingstherapie, zoals met PEC-Direct, zorgen voor een functionele genezing.

Dit werk is complementair aan de klinische evaluatie van PEC-Direct in Noord-Amerika. Tijdens de eerste fase van de Europese studie worden de transplantaten geanalyseerd naar hun capaciteit om bèta cellen te genereren bij patiënten; de tweede fase heeft tot doel om met een therapeutische dosis een bèta cel massa te genereren die door gesecreteerd insuline de bloedsuikerwaarden nauw onder controle houdt. De start van deze klinische studies in Europa is een belangrijke stap in de ontwikkeling van celtherapie voor type 1 diabetes.

De transplantaties worden uitgevoerd in het UZ Brussel, het Universitair Ziekenhuis van de Vrije Universiteit Brussel (VUB), met de PEC-Direct, het kandidaat-product van ViaCyte. De klinische studie en de daaraan verbonden preklinische studies in Europa worden ondernomen door het Beta Cell Therapy Consortium met steun van een Horizon 2020-programma van de Europese Commissie. Dit consortium bestaat uit klinische, industriële en onderzoeksteams van de VUB, ViaCyte, het San Raffaele Hospital Diabetes Research Institute in Milaan, het Nestlé Institute of Health Sciences in Lausanne, het Leids Universitair Medisch Centrum en het Institut du Cerveau et de la Moelle Epinière in Parijs. Deze teams werken samen aan de ontwikkeling van een celtherapie die type 1 diabetes te geneest.

Celtherapie voor type 1 diabetes

Type 1 diabetes kan op elke leeftijd ontstaan, maar is de meest frequente vorm van diabetes bij diagnose onder de 40 jaar. Patiënten met type 1 diabetes kunnen niet langer insuline aanmaken en moeten daarom dagelijks

insuline toegediend krijgen, levenslang. Deze behandeling met exogene insuline sluit het risico op complicaties niet uit, waarvan sommige levensbedreigend kunnen zijn. Ze vermijdt ook niet de impact van de chronische aandoening op de levenskwaliteit. Implantaten van bèta cellen die worden geïsoleerd uit menselijke donor pancreata kunnen terug zorgen voor een endogene insulineproductie en zo een lichaamseigen controle van de bloedsuikerspiegel herstellen. Het tekort aan humane donororganen beperkt evenwel sterk deze vorm van celtherapie. Humane pluripotente stamcellen kunnen dit tekort verhelpen, vermits ze op grote schaal kunnen worden gedifferentieerd tot pancreas(progenetor)cellen die functionele insulineproducerende bèta cellen genereren na transplantatie.

Over het Center for Beta Cell Therapy in Diabetes

Het Center for Beta Cell Therapy in Diabetes is een coördinatiecentrum voor studies en interventies naar preventie en genezing van type 1 diabetes. De projecten ontwikkelen strategieën naar de bescherming en/of vervanging van de functionele beta cel massa zodat deze kan zorgen voor een adequate en duurzame metabole controle. Ze worden ondernomen binnen een internationaal consortium met partners uit onderzoeksinstituten, universitaire ziekenhuizen en de bio-industrie. Sinds de oprichting van het Centrum en zijn consortium in 2002, verwierf het subsidies van de Europese Unie via FP6-, FP7- en Horizon 2020-programma's, van JDRF (voorheen gekend als de Juvenile Diabetes Research Foundation) en van het Agentschap Innoveren & Ondernemen Vlaanderen. Het Centrum bevindt zich op de Brussels Health Campus van de Vrije Universiteit Brussel. Het leidt sinds zijn ontstaan een traject met beta celtransplantaties bij patiënten. Voor het huidige programma met stam cel-gederiveerde transplanten coördineert het centrum activiteiten van consortium partners in Brussel (UZ Brussel en VUB), San Diego (ViaCyte), Milaan (San Raffaele Hospital Diabetes Research Institute), Lausanne (Nestlé Institute of Health Sciences), Leiden (the University Medical Center) en Parijs (Institut du Cerveau et de la Moelle Epinière). Meer informatie vindt u op www.betacelltherapy.org.

Center for Beta Cell Therapy:

Brussels Health Campus Vrije Universiteit Brussel
Laarbeeklaan 103, 1090 Brussel

+32 477 45 40

center@betacelltherapy.org

Over ViaCyte

ViaCyte is een privé-bedrijf dat nieuwe celvervangingstherapieën ontwikkelt voor diabetes met als objectief een lange termijn correctie van de bloedsuikerwaarden en een reductie van het risico op hypoglycemie en andere diabetesgerelateerde complicaties. De kandidaat-producten van ViaCyte zijn gebaseerd op de derivatie van pancreas progenitorcellen uit humane stamcellen in het laboratorium, en hun transplantatie in een duurzaam device dat terug kan worden uitgenomen. De geïmplanteerde cellen ondergaan een maturatie proces tot een stadium waarin insuline en andere pancreashormonen worden gecreteerd volgens de bloedsuikerwaarden. ViaCyte heeft twee kandidaat-producten in klinische ontwikkeling. Het PEC-Direct™ kandidaat-product bestaat uit pancreas progenitorcellen in een device dat niet immuun-protectief is; dit is bestemd voor type 1 diabetes-patiënten die sterk labiele glycemie waarden vertonen, hun hypoglycemie niet aanvoelen en daardoor blootgesteld zijn aan ernstige glycemie dalingen. Het PEC-Encap™ (ook gekend als VC-01) kandidaat-product bevat dezelfde pancreas progenitorcellen in een immuun-protectief device; het wordt ontwikkeld voor alle patiënten met diabetes, type 1 en type 2, die exogene insuline nodig hebben. ViaCyte wil ook immuno-evasieve 'universele donor' stamcellijnen ontwikkelen in samenwerking met CRISPR Therapeutics, gebruik makend van zijn eigen CyT49 cellijn; dit moet het potentieel van celtherapie voor diabetes en andere indicaties vergroten. ViaCyte heeft zijn hoofdzetel in San Diego, Californië. ViaCyte wordt deels gefinancierd door het California Institute for Regenerative Medicine (CIRM) en JDRF. Meer informatie vindt u op www.viacyte.com.

ViaCyte Media Contact:

Jessica Yingling, Ph.D., Little Dog Communications, Inc.

+1-858-344-8091

jessica@litldog.com