|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| **Titel** | CRISPRcas en Gene Editing. Het maakbare genome | | | |
| **Datum** | 26 oktober 2017 | | | |
| **Cursusinhoud** | Sommige wetenschappelijke ontwikkelingen grijpen direct de aandacht van het grote publiek. De CRISPR/Cas techniek is zo’n ontwikkeling. Met deze techniek kan in het laboratorium de genetische code in het DNA worden herschreven in levende cellen. Dit wordt aangeduid als ‘DNA editing’. Naast CRISPR/Cas zijn er ook andere DNA-editing technieken beschikbaar. Deze technieken maken het mogelijk fouten in onze genen te corrigeren. Ook kunnen de fouten worden aangebracht die verdacht worden ziekten te veroorzaken. Dergelijke cellen kunnen dan gebruikt worden voor bijvoorbeeld geneesmiddelen onderzoek. Het corrigeren van de fouten in cellen van een patiënt kan worden gezien als een vorm van precisiegentherapie. In de lichaamscellen worden de genetische veranderingen die de ziekte veroorzaken immers gecorrigeerd. Dit geeft nieuwe mogelijkheden voor wetenschappelijk onderzoek. Het is ook een aantrekkelijke benadering die aandacht verdient vooral bij aandoeningen die op dit moment nog niet behandelbaar zijn. Hoewel het huidige klinisch onderzoek uitsluitend gericht is op de correctie van lichaamscellen, is het theoretisch ook mogelijk om genen in de kiembaan aan te passen. Met kiembaanmodificatie kunnen de genetische veranderingen worden overgedragen op het nageslacht. Dit brengt uiteraard nieuwe ethische vragen en dilemma’s. | | | |
| **Doelgroep(en)** | Kinderartsen, klinische genetici, oogartsen, internisten, immuno-infectiologen, neurologen en allen die geïnteresseerd zijn in het onderwerp. | | | |
| **Leerdoelen** | Het doel van deze cursus is het inzichtelijk maken van mogelijkheden en verwachtingen van de DNA editing-technologie in het biomedische veld.  De cursist verwerft:  1. Inzicht in de technische achtergronden van de huidige techniek  2. Begrip omtrent de voor en nadelen van de verschillende DNA-editing technologieën  3. Inzicht in de verschillen met meer conventionele gentherapiebenaderingen (“gene addition” ipv “gene editing”)  4. Inzicht in de toekomstige klinische toepassingsgebieden van de DNA-editing technologie  5. Inzicht is de voorwaarden en beperkingen die hiermee gepaard gaan  6. Inzicht in de ethische dilemma’s die spelen bij toepassingen in somatische cellen en bij kiembaanmodificatie. | | | |
| **Leden cursus -commissie** | • prof.dr. R.C. Hoeben (MCB), voorzitter  • prof.dr. S.M. van der Maarel (HG)  • prof.dr. A.C. Lankester (KJC)  • prof.dr. F.J.T. Staal (IHB)  • dr. M.C. de Vries (KJC) | | | |
| **Tijd** | **Programma** | | | |
|  | | | |
| **Ontvangst en registratie** | |  | 09:30 – 10:00 |
| **Intro en voorzitter** | | Prof. Arjan Lankester  ( LUMC) | Introduction |
|  | |  | 10:00 – 10:10 *probleem/casusgestuurde start: waar krijg je in praktijk mee te maken?* |
| **Patiëntenperspectief** | | Elisabeth Vroom, Duchenne Parent Project | 10:10 – 10:30 titel ………………… |
|  | |  |  |
| **Context** | | Prof Rob Hoeben  (LUMC) | 10:30- 10:50 Gentherapie of genediting |
|  | |  |  |
| **Technisch** | | Prof Marcel Tijsterman  (LUMC) | 10:50- 11:10 Een breuk in het DNA: wat nu? |
|  | |  | verzoek aan sprekers: max. 15 min inhoud, 5 minuten voor 1-2 informatieve vragen |
|  | |  |  |
| **Coffee BREAK** | |  | 11:10-11:30 |
|  | |  |  |
|  | | Prof Niels Geijsen  (Hubrecht, Utrecht) | 11:30 – 11:50 CRISP/CAS en vrienden en iTOP |
|  | |  |  |
| **Toepassingen** | | Prof Frank Staal  (LUMC) | 11:50-12:10 Gentherapie of gene editing in SCID |
|  | |  |  |
|  | | **Vragen over de eerste presentaties / toelichting breakout sessie** | 12:10 - 12:30 |
|  | |  |  |
| **Lunch** | |  | 12:30 – 13:25 |
|  | |  | 5 minuten looptijd naar de subzalen |
| De breakout sesies bieden gelegenheid om door te praten in kleine groepen over de implicaties voor de dagelijkse praktijk en het uitwisselen van ervaringen. Met wat voor vragen komen de patiënten nu al, hoe gaan we om met verwachtingen van de patiënt die misschien nog niet realistisch zijn? Wat zijn de mogelijkheden maar ook de beperkingen van deze technieken? Deze sessies kunnen u helpen bij het verwachtingsmanagement bij patiënten. | | | |
| **Breakout sessies** | | In specialisme specifieke groepen discussie over inhoud & mogelijke implicaties voor eigen vak/praktijk n.a.v. ochtendprogramma | 13.30 – 14.30 Opbrengst definiëren per groep (geeft richting en wie weet interessante oogst voor toekomst): belangrijkste vondst/eye-opener, belangrijkste valkuil, belangrijkste verwachting voor de toekomst (oid). Groepen begeleid door Cursuscommissieleden. |
|  | |  | 5 minuten looptijd naar plenaire zaal |
| **Voorzitter** | | Prof Sylvère vd Maarel |  |
|  | | Prof. Thierry VandenDriessche (UBL, Brussel) | 14:35 – 15:05 CRISPR/CAS in de spier |
|  | |  |  |
| **Theepauze** | |  | 15:05 – 15:30 |
|  | |  |  |
| **Kiembaan** | | Dr Sjef Verbeek  (LUMC) | 15.30 – 15.50 Muizen & model systemen |
|  | |  |  |
| **Misbruik? Ethiek?** | | Prof. Hidde Haisma  (RUG) | 15:50 – 16:20 Gendoping *Verbreden naar ethische aspecten; ruimte geven voor discussie, daarom half uur* |
|  | |  |  |
| **Maatschappelijke aspecten *met link naar juridische aspecten*** | | Dr. Ruth Mampuys  (COGEM) | 16:20 - 16:40 |
| **Vragen over de middagsessie.** | |  | 16:40 – 16:50 |
|  | |  |  |
| **Plenair in de zaal, buzzen in 3-tallen(gemengd)** | | 1 lumineus idee, 1 brandende vraag op kaart schrijven voor panel straks | 16:50-17:00 |
|  | |  | Cursuscommissie clustert tijdens diner en speekt vragen/thema’s door aan panelleden |
| **Drankje en diner** | |  | Ca 17:00 – 18:30 |
| Discussieleider | | Dr. Martine de Vries |  |
|  | | Thema: …  …  … |  |
| Interaction/ Discussion | | Dr Martine de Vries | 18:00 – 19:00 *(Start discussie bij dessert)* |
| Summary | | Prof. Hoeben | 19:00 – 19.15 |