



Van patent naar patiënt. Cystic Fibrosis (CF). RNA-reparatieplatformtechnologieën

Drive

Daniel de Boer, de CEO van ProQR, werd met Cystic Fibrosis geconfronteerd toen zijn zoon deze aandoening bleek te hebben. Hij besloot, na intensieve bestudering van de biofarmasector, de ICT vaarwel te zeggen en zelf een biofarmabedrijf op te richten: ProQR. Hij vertelt: “Ik ben in 2012 begonnen en heb meteen hoog ingezet: ik verzamelde verschillende kopstukken uit de biotechnologie wereld om mij heen. Door gebruik te maken van innovaties uit de wetenschap en de ervaren mensen die hierbij betrokken zijn hebben we ons snel kunnen ontwikkelen. Ik had destijds niet de illusie het beter te kunnen dan grote bedrijven maar het leek me nuttiger om iets nieuws te doen, iets wat de rest niet deed: We besloten een hele nieuwe methode voor het bestrijden van het genetisch defect in taaislijmziekte te ontwikkelen: RNA-therapie”.

Cystic Fibrosis (CF), ook wel taaislijmziekte of mucoviscidosis, is een zeldzame ernstige erfelijke ziekte gekenmerkt door de neiging tot longinfecties en een slechte opname van vetten en andere voedingsstoffen in voedsel.

RNA-reparatieplatformtechnologie

Inmiddels worden bij de behandeling van CF de eerste successen geboekt. CF is een heterogene aandoening en kan door veel verschillende defecten in het DNA worden veroorzaakt. Dit vertaalt zich naar het eveneens gemuteerde messenger RNA dat door de therapeutische producten van ProQR wordt aangepakt, zoals het geneesmiddel QR-010 dat zich richt op de longafwijkingen.

Bij deze therapie zoeken oligonucleotiden de keten van het RNA in de levende cel op en zorgen ervoor dat er goed functionerende CF eiwitten geproduceerd worden. Nu men de techniek steeds beter in de vingers krijgt, blijkt deze ook nuttig voor de behandeling van andere erfelijke aandoeningen die berusten

op een soortgelijk defect. Onderzoek naar nieuwe geneesmiddelen maakt verschillende fasen door alvorens als therapie te worden geregistreerd, zoals onderzoek naar dosering, frequentie van toediening, veiligheid, verdraagbaarheid en verkennende werkzaamheid.

Octrooi en Licentie bij CF

Vorig jaar werden twee octrooien tot ten minste juli 2033 toegekend met betrekking tot deze nieuwe therapie tegen CF: Amerikaans octrooi nr. 9,605,255, in Europa octrooi (EP 2 852 668 B1). Afgezien van deze ProQR-patenten in eigendom, heeft ProQR een exclusieve licentie op Amerikaans patentnummer 9.617.535 van Massachusetts General Hospital Met betrekking tot QR-010.

Inmiddels is het bedrijf eigenaar van verschillende intellectuele eigendommen ten aanzien van 16 octrooifamilies, samen met 6 gelicentieerde patenten, die meerdere beschermingslagen bieden voor hun nieuwe producten en technologieën.

Weesgeneesmiddelen. Kansen en bedreigingen.

Ziektes waar weinig mensen aan lijden, zogenaemde ‘orphan diseases’, oftewel weesaandoeningen, worden vaak genegeerd door grote farmaceuten. De geneesmiddelen die er tegen worden ontwikkeld worden daarom weesgeneesmiddelen genoemd. Om de enorme investering die noodzakelijk is om weesgeneesmiddelen uiteindelijk op de markt te krijgen terug te verdienen moeten de marges aanzienlijk zijn. Dat biedt kansen, maar ook risico’s. Bij CF worden nu wel grote vorderingen gemaakt. Octrooi-



bescherming voor producten en therapieën verhoogt de kans dat bedrijven hun investering later terugverdienen. Zonder octrooien is het bijna niet mogelijk om nieuwe medicijnen te ontwikkelen en op de markt te brengen. Het nadeel voor gespecialiseerde biofarmabedrijven is dat de concurrentie binnen zo’n relatief klein gebied sterk toeneemt en er meerdere geneesmiddelen in ontwikkeling zijn. ProQR zet de verdere klinische ontwikkeling van het CF product niet meer zelfstandig voort en richt zich nu ook wat meer op de ontwikkeling van geneesmiddelen tegen aandoeningen als de erfelijke vormen van blindheid en huidziektes. Het RNA platform biedt nog tal van mogelijkheden en we zullen hier zeker meer van gaan horen.

Op Espacenet: https://nl.espacenet.com/searchResults?submitted=true&locale=nl_NL&DB=EPODOC&ST=advanced&TI=&AB=&PN=&AP=&PR=&PD=&PA=proqr&IN=&CPC=&IC=&Submit=ZOEK

Met dank aan Tamara Elmore, octrooigemachtigde bij V.O. Patent and Trademarks voor kritisch commentaar.

Jan Taco te Gussinklo is NOVU-lid en opgeleid als internist. Sinds 2009 publiceert en adviseert hij over medische innovaties.