

NR. 112 - 1ste TRIMESTER 2018

Blikveld

diagrammatisch afgeleend
Brussel X P300439

ACHTERGRONDINFORMATIE BIJ DE ACTIVITEITEN VAN DE KONING BOUDEWIJNSTICHTING

www.kbs-frb.be • www.goededoelen.be



Koning
Boudewijnstichting

Samen werken aan een betere samenleving

**ENERGIEARMOEDE
VAN ANALYSE NAAR
AANBEVELINGEN**

Onder het Erevoorzitterschap van H.M. Koningin Mathilde



Een nieuw elan voor het onderzoek naar zeldzame ziekten

[Zeldzame ziekten](#) treffen slechts 1 persoon op de 2000 – in 75% van de gevallen gaat het om kinderen – en de kennis erover is vaak nog beperkt. De Koning Boudewijnstichting wil het onderzoek naar deze ‘weesziekten’ een serieuze boost geven.

Steeds meer filantropen willen dat ook. Maar liefst tien Fondsen die de Koning Boudewijnstichting beheert, zijn opgericht om een zeldzame ziekte te bestrijden. Een van de recentste initiatieven is het Fonds 101 Genomen (F101G). F101G is het werk van de ouders van de kleine Aurélien, een kind met het marfansyndroom. Zoals zo vaak het geval is bij deze

Fondsen, overstijgen zij met hun initiatief hun eigen situatie.

Beschermende genen

“Het marfansyndroom wordt veroorzaakt door een wijziging in het gen, die de aanmaak van fibrilline verstoort. Fibrilline is een belangrijk eiwit voor het bindweefsel”, vertelt Romain Alderweireldt, papa van Aurélien en oprichter van het Fonds.

“Dit heeft gevolgen voor het hele lichaam, met in de eerste plaats een aangetast cardiovasculair stelsel, risico op subluxatie van de ooglenzen en dus blindheid, een forse kromming van de wervelkolom en een ongewoon lang skelet. Er bestaat geen specifieke medicatie, behalve Losartan dat beperkte resultaten oplevert. Bètablokkers verlagen wel de bloeddruk.”



Databank

Hoe stimuleer je het wetenschappelijk onderzoek naar zeldzame ziekten? Door onderzoekers een cross-databank ter beschikking te stellen die de erfelijke en andere typerende gegevens van de patiënten met deze ziekten samenbrengt. "We mogen hopen dat een dergelijke tool meer inzicht zal geven in de ziekte. We hopen dat men zo actieve beschermende genen bij bepaalde patiënten kan identificeren. Op basis daarvan zou het mogelijk moeten zijn om geneesmiddelen te produceren die hun heilzame werking kopiëren", zegt Romain Alderweireldt.

Zonder goede gegevens heb je geen goed onderzoek: dat is het uitgangspunt van het Fonds 101 Genomen. Romain Alderweireldt: "De bijzonderheid van ons initiatief is dat het zich niet focust op een specifiek team van onderzoekers maar verschillende onderzoeken kan voeden. Dit bio-informatica-instrument kan de kostprijs van onderzoeken verlagen omdat het vermijdt dat wetenschappers zelf een cohort van patiënten moeten opbouwen met de bijbehorende sequentieanalyse. Ons proefproject wil een gegevensbank oprich-

ten van minstens 101 patiënten met het marfansyndroom. Zodra dit bio-informaticaplatform er is, kan deze methode ook toegepast worden voor andere zeldzame ziekten."

Altruïstisch initiatief

De ziekte van Aurélien zette het initiatief in gang, maar het F101G wil een veel ruimere impact hebben. Dat heeft het gemeen met de andere Fondsen voor zeldzame ziekten die de Koning Boudewijnstichting beheert. Hun initiatiefnemers beseffen dat hun zieke familielid misschien niet meteen baat zal hebben bij de resultaten van het onderzoek dat ze ondersteunen. Maar dat weerhoudt hen er niet van om zich toch te engageren, voor alle patiënten!



DE HEER EN MEVR. ALDERWEIRELDT, oprichters van het Fonds 101 Genomen

Lees het verhaal van Aurélien op www.kbs-frb.be/nl/Newsroom/Stories
Meer info over het Fonds 101 Genomen: www.f101g.org

EEN PRESTIGIEUZE PRIJS

Met de lancering van de [Prijs Generet](#) krijgt het onderzoek naar zeldzame ziekten een serieuze boost. Het Fonds Generet zal jaarlijks een vernieuwend onderzoeksproject belonen met een aanzienlijke som. Meer nog dan in andere domeinen kampt het onderzoek naar zeldzame ziekten met geldgebrek, omdat er zo weinig patiënten zijn. Door deze prestigieuze Prijs uit te reiken (een bedrag van

€ 500.000 en de mogelijkheid om twee jaar later nog een bedrag van die orde te ontvangen) wil het Fonds Generet toponderzoekers aanmoedigen om te werken op een of meer zeldzame ziekte(n). In tegenstelling tot andere Fondsen, ligt het accent niet op één welbepaalde ziekte. Het Fonds Generet zal jaarlijks een projectoproep uitschrijven en een onderzoeksproject kiezen uit de voorstellen die

onderzoekers indienen. Alleen ervaren onderzoekers die hun sporen hebben verdiend, komen in aanmerking. Het onderzoeksteam moet verbonden zijn aan een Belgische universiteit, maar uiteraard mag worden samengewerkt met buitenlandse partners – vaak is dit zelfs noodzakelijk. De selectie gebeurt door een wetenschappelijk comité, in samenwerking met het FNRS, FWO-Vlaanderen en internationale experts.

MEER INFO?

Om meer te weten over de Fondsen voor zeldzame ziekten die de Koning Boudewijnstichting beheert: www.kbs-frb.be, tik 'Zeldzame ziekten'.