Leids Universitair
Medisch Centrum

De Academische Agenda:
Nationale Wetenschapsagenda & Nationaal Plan NFU 'Sustainable Health'

Nationale Conferentie
Zeldzame Aandoeningen

RAREDISEASEDAY.ORG

Prof.dr. Pancras. C.W. Hogendoorn

Lid Raad van Bestuur, Decaan LUMC
Voorzitter O&O NFU
Lid stuurgroep NWA
Contact: p.c.w.hogendoorn@lumc.nl

Structure

1. Achtergrond: wetenschapsvisie 2025 (OCW)
2. Nationale Wetenschapsagenda (NWA)
3. NFU Nationaal Plan ‘Sustainable Health’ (NFU)
4. Rapport Gezondheidsraad en rol UMCs
5. Zeldzame aandoeningen binnen de academische agenda

1. Wetenschapsvisie 2025 (OCW)

Meest belangrijke element uit de Wetenschapsvisie is de vaststelling doorwerking Nationale Wetenschapsagenda (NWA) (pp. 27-28):

1. NWA zal een belangrijke rol spelen in de profilering van de universiteiten en de (her)allocatie van de zogenoemde ‘promotieparameters’
2. Nieuwe NWO-programma’s zullen zich richten op NWA-prioriteiten
3. NWA-prioritering als kader voor investeringen grootschalige onderzoekinfrastructuur
4. ‘Zwaartekracht 2016’ (e.v.) zal worden gebouwd rondom NWA-thema’s

Bron: OCW.nl

Wetenschapsvisie 2025 keuzes voor de toekomst

2. Nationale Wetenschapsagenda (NWA)

https://www.youtube.com/watch?v=JNSl1YKu5WI

2. Nationale Wetenschapsagenda (NWA)

- In november 2015 is de Nationale Wetenschapsagenda (NWA) gepresenteerd met daarin 140 clustervragen en 16 exemplarische routes
- <u>Drie biomedische routes zijn geformuleerd</u>

1. Regeneratieve geneeskunde
2. Personalized medicine
3. Gezondheidsonderzoek: preventie en behandeling

11.700 ingediende vragen → 248 KNAW clusters → 140 clustervragen
- in 5 hoofdstukken
- binnen 10 thema's
- met 16 voorbeeldroutes

nationale wetenschaps agenda

2. Nationale Wetenschapsagenda: voorbeelden van clustervragen

NIERZIEKTEN
Hoe ontstaan chronische nierziekten en hoe kunnen deze eerder opgespoord worden en vervolgens op individuele basis worden behandeld? Is een implanteerbare kunstnier haalbaar?

90

STAMCELLEN
Hoe kunnen we met behulp van (stam)cellen en biomaterialen de vorming en herstel van weefsels en organen bevorderen?

100

TUMOREN
Elke tumor is anders: hoe kunnen we de ziekte kanker goed genoeg begrijpen om een behandeling van elke vorm ervan te kunnen ontwikkelen?

85

GENETICA
Hoe gaat de kennis van genetica een rol spelen in het begrijpen van, screenen op en behandelen van (zeldzame) ziekten?

81

HART- EN VAATZIEKTEN
Hoe kunnen we hart- en vaatziekten (atherosclerose, hartfalen, hartritmestoornissen en trombose) op individueel niveau vroeg voorspellen, voorkomen en behandelen?

88

BIOMARKERS
Hoe kan de gezondheidszorg, onder andere door gebruik te maken van biomarkers, meer gericht worden op de uniciteit van een persoon?

95

3. NFU Nationaal Plan ‘Sustainable Health’ (NFU)

- ‘nationaal plan academische geneeskunde, biomedische wetenschap en gezondheidszorgonderzoek gebaseerd op Nationale Wetenschapsagenda
- Sustainable Health is het gezamenlijke doel van de acht universitaire medische centra
- **Sustainable health omvat (a) mensen gezond houden tegen redelijke kosten, (b) onze gezondheidszorg toegankelijk, betaalbaar en van hoge kwaliteit houden en (c) het opleiden van de beste artsen, medisch-specialisten en andere professionals**

NFU
NEDERLANDSE FEDERATIE VAN UNIVERSITAIR MEDISCHE CENTRA

3. NFU Nationaal Plan ‘Sustainable Health’ (NFU)

De meest belangrijke thema’s die een cruciale rol spelen de komende jaren in de ontwikkeling van een duurzaam systeem voor de gezonheidszorg zijn:

- **Gezondheidszorgonderzoek: risico identificatie, preventie en behandeling**
- **Personalized medicine**
- **Regeneratieve geneeskunde**
- **Big data en Data4lifesciences**
- **Grootschalige onderzoeksinfrastructuur**

Dit sluit naadloos aan op de routes van de Nationale Wetenschapsagenda

NFU
NEDERLANDSE FEDERATIE VAN
UNIVERSITAIR MEDISCHE CENTRA

Voorbeeld van personalized medicine: Organ-on-chip

<u>What is Organ-on-chip?</u>

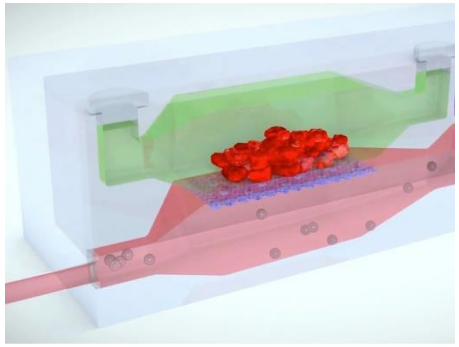
Create the smallest functional modules of healthy or diseased tissues / organs 'on a chip' / microscope slide using microfluidics, microelectronics and microfabrication

- Human **stem cells** from healthy individuals or patients (adult stem cells, organoids, iPSC)
- **3D culture** interaction between different cell types, including immune cells, **under controlled conditions**
- **Human genetics**
- **Manipulation** of the (patho)physiological environment: biochemical + physical factors
- **Long term culture**: time for disease to develop
- **Real time** monitoring

DMT
HUMAN ORGAN AND DISEASE MODEL TECHNOLOGIES

Organ-on-Chip Technology: the Revolution in Health Care

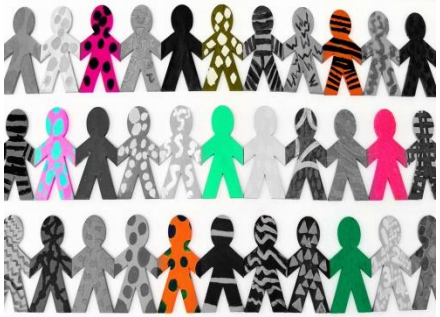
The Problem
Too Many Ineffective Drugs for Too Much Money



The Solution
Organ-on-Chip Technology

The Benefit for Drug Development:
Faster Identification of Effective Drugs

The Benefit for Patients
Truly Personalized Medicine



The Benefit for Society
Cheaper Health Care
Less animal experiments

hDMT
We Make It Happen

hDMT
HUMAN ORGAN AND DISEASE MODEL TECHNOLOGIES

Institute for *h*uman Organ and Disease Model Technologies

A Dutch initiative, based on chip and stem cell technology, since 2015

HUMAN ORGAN AND DISEASE MODEL TECHNOLOGIES

hDMT Consortium

1. Hubrecht Institute*
2. LUMC*
3. LU*
4. ErasmusMC*
5. MUMC+
6. VUmc
7. Univ of Groningen
8. TU Twente*
9. TU Delft*
10. TU Eindhoven*
11. Wageningen U&R
12. Galapagos*
13. Genmab*
14. TNO

* Founding partners

Stem cell technology
- iPSC
- Adult stem cell organoid culture

Readout technology
Biomaterials

Microfluidics
Microelectronics
Microfabrication
Polymer chemistry
Computational modeling
Metabolism
Food toxicology

Pharma and drug development expertise

Validation/valorization

Patient advocacy group

Clinical expert team (medical specialists)

4. Rapport Gezondheidsraad en rol UMCs (1/2)

- Conclusie uit rapport Gezondheidsraad: ‘De Nederlandse UMCs voeren goed wetenschappelijk onderzoek uit, maar de bijdrage daarvan aan de gezondheidszorg en preventie is voor verbetering vatbaar’
- **Rol UMCs van <u>regionale academische motor</u> is drieledig:**
    1. **Topreferentie functie**
    2. **Last resort functie**
    3. **Innovatie vanuit biomedisch onderzoek**
- Synergie en aansluiting in de biomedische innovatieketen tussen fundamenteel en toegepast klinisch onderzoek, tussen zeldzame ziekten en veel voorkomende ziekten
- Dat betekent en … en … en …

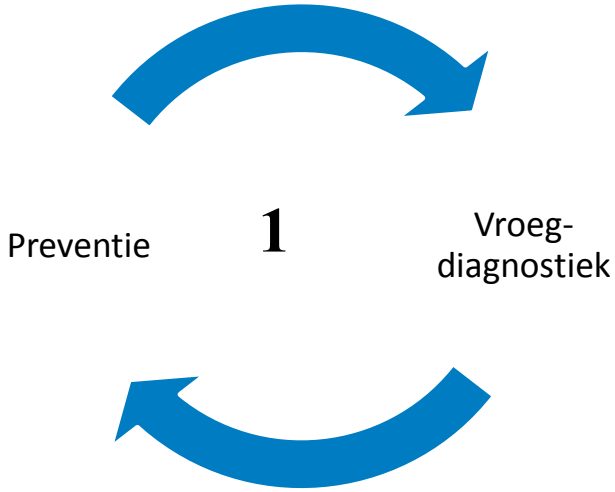
4. Rapport Gezondheidsraad en rol UMCs (2/2)

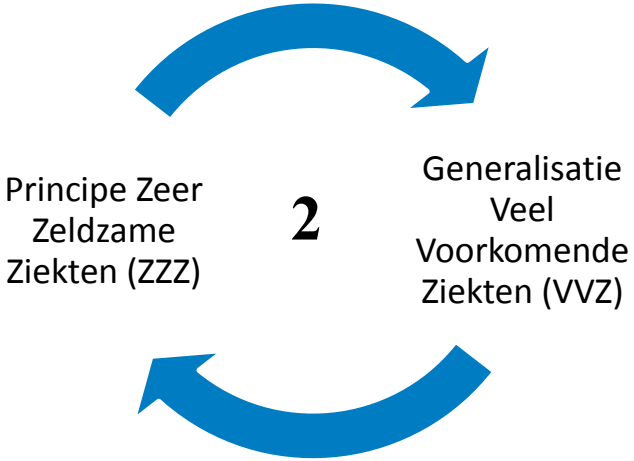
Twee uitgangspunten/principes van belang voor zeldzame aandoeningen:

1. Preventie en vroegdiagnostiek *ook* van belang voor zeldzame aandoeningen

   -> vb. Diabetes-gen

1. Principe zeldzame aandoeningen geeft inzicht in mechanismewerkingen en kan generalisatie geven voor veel voorkomende ziekten





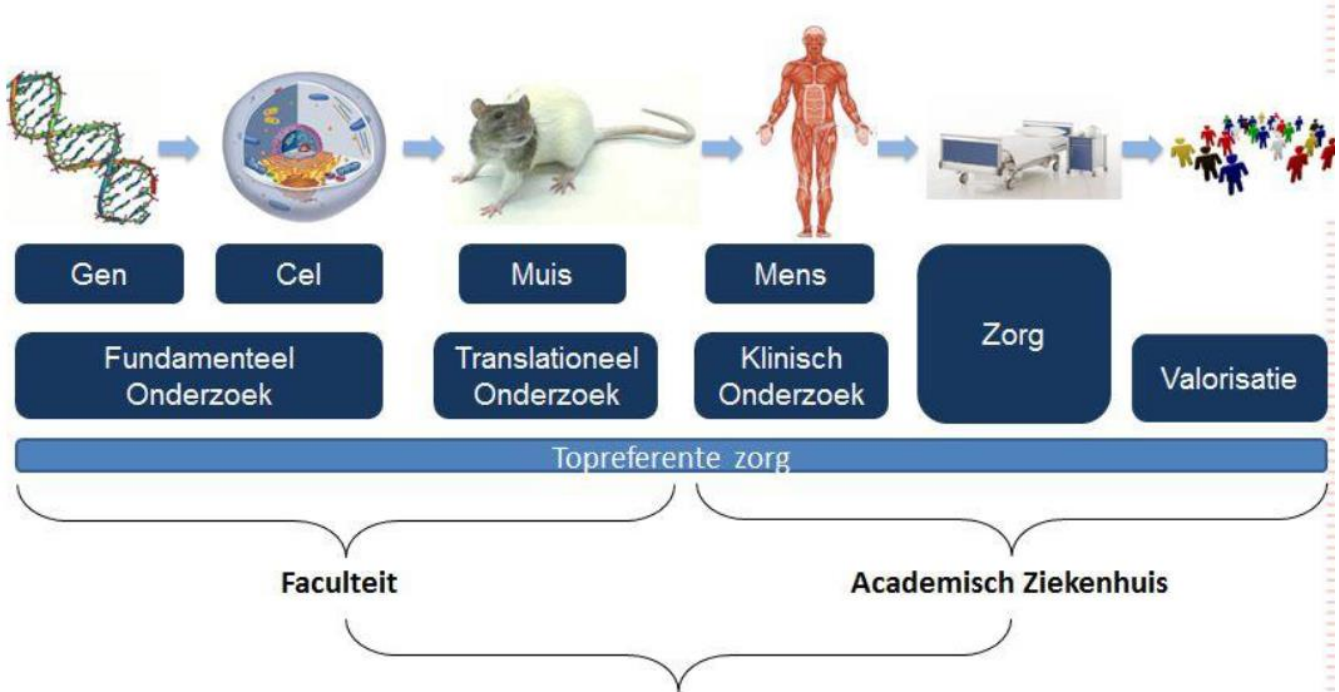
5. Zeldzame aandoeningen binnen de academische agenda (1/6)

1. ‘There is no disease so **rare** that it does not deserve <u>academic</u> attention’
2. Waarom staan zeldzame ziekten *juist* op de agenda van UMCs?

   -> Maatschappelijke opdracht en wetenschappelijke nieuwsgierigheid

   -> extrapoleren van wetenschappelijk onderzoek bij zeldzame ziekten

   -> inzicht in werking van mechanismen



4. Zeldzame aandoeningen binnen de academische agenda (2/6)

- Zeldzame ziekten al op de Europese academische agenda: H2020

“SC1-PM-08-2017: New therapies for rare diseases

Specific Challenge: Rare diseases are diseases which affect not more than 5 per 10 000 persons in the European Union, as defined in the context of the EU legislation. A considerable amount of knowledge has been generated by biomedical research in recent years, yet most of the 6 000 to 8 000 rare diseases are lacking therapies despite many of these diseases being life-threatening or chronically debilitating. Specific problems posed in therapy development for rare diseases include the small and dispersed patient populations and the nature of the therapies proposed, which are often highly specialised and novel”

4. Zeldzame aandoeningen binnen de academische agenda (3/6)

1. Patiënt als partner voor universitaire medische centra (UMCs) *(patientslikeme.com)*
2. Patiënten werken samen met behandelaars, therapie vindt plaats in UMCs
3. Voorkomend misverstand: groot deel erfelijke aandoeningen zijn zeldzaam, maar ook heleboel niet-erfelijke aandoeningen: beentumoren
4. Voorbeeld: Academische samenwerking in Commissie van Beentumoren (1952).

   Vier expertisecentra en 100% behandeling in de vier academische huizen
5. Zeldzame ziektes geven inzicht in andere ziektebeelden door inzicht in mechanismewerking

4. Zeldzame aandoeningen binnen de academische agenda (4/6)

- Europa telt meer dan 30 miljoen inwoners met zeldzame aandoeningen, een gedegen academische agenda is noodzaak: van onderzoek naar toepassing in kliniek
- Eurordis (nov 2005, 'Rare Diseases: Understanding this Public Health Priority') stelt:

  1. Onvoldoende toegang tot goede diagnostiek
  2. Onvoldoende wetenschappelijke kennis
  3. Onvoldoende multidisciplinaire medische teams
  4. Hoge kosten voor de weinig beschikbare, bestaande therapie
  5. Ongelijkheid in de beschikbaarheid van behandeling en therapie

=> *Maar rapport Eurordis komt uit 2005: hoe staan we er nu voor of wat is er nodig voor die gedegen onderzoeksagenda*?

4. Zeldzame aandoeningen binnen de academische agenda (5/6)

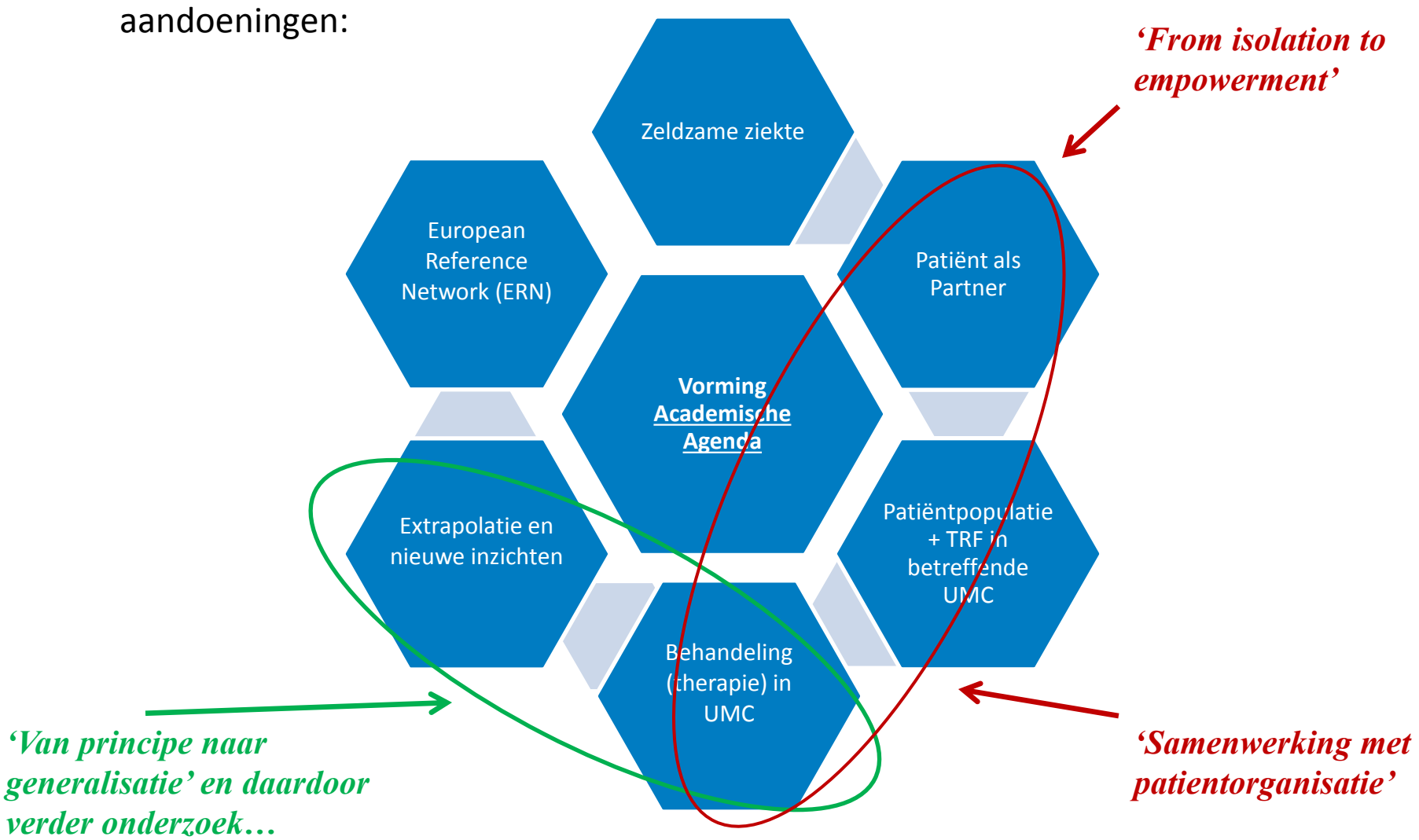
Twee belangrijke ontwikkelingen:

1. Nationaal Plan Zeldzame Ziekten (NPZZ) uit 2013
2. European Reference Networks (ERNs)

- Definitie volgens EU en Eurordis: “ERN will facilitate the sharing of knowledge, experience, medical research, teaching, training and resources. They use relevant communication and eHealth tools to enable the mobility of expertise across borders, rather than the movement of patients that travel to access care and expertise that does not exist in their country”

4. Zeldzame aandoeningen binnen de academische agenda (6/6)

- Randvoorwaarden voor vorming van succesvolle academische agenda voor zeldzame aandoeningen:



Leids Universitair
Medisch Centrum

4. Q&A