



De koers van het Bio Science Park

Het Leiden Bio Science Park is de economische motor van Leiden, de kurk waar de stad op drijft. Honderden bedrijven werken er aan de wereld van morgen. Maar wat doen ze precies? De komende maanden duikt het Leidsch Dagblad in de wereld van de biotech in de regio. Deze keer: NTrans, een bedrijf dat een geavanceerde gentherapie wil inzetten tegen Duchenne spierdystrofie. Deze serie verhalen wordt mede mogelijk gemaakt door het Leids Mediafonds.



Marco de Boer: „Vanuit hier willen we de komende jaren verder aan onze gentherapie werken.”

FOTO HIELCO KUIPERS

PORTRET NTrans verhuisde van Utrecht naar Leiden om dicht bij expertise LUMC te zijn

DNA-therapie tegen Duchenne

Op het Leiden Bio Science Park ontwikkelt NTrans een gentherapie met een geavanceerde methode om medicijnen in cellen af te leveren. Daarmee hoopt het in de toekomst patiënten met de ongeneeslijke spierziekte Duchenne te kunnen behandelen.

Martijn de Meulder

Op de derde etage van het Biopartner 2-gebouw op het Leiden Bio Science Park bevindt zich het nieuwe laboratorium van NTrans, het bedrijf van Marco de Boer, zijn compagnon Niels Geijzen en hun vijf medewerkers „We zijn hier vorig jaar in september heen verhuisd, na zes jaar in Utrecht”, vertelt De Boer. „Dat was een logische stap. We waren gevestigd in het Hubrecht Instituut op de Uithof, het Utrechtse universiteitsterrein. NTrans is daar ontstaan uit het onderzoek van Niels toen hij daar werkte. Maar doordat het accent van NTrans steeds meer op genetische spierziekten kwam te liggen en het LUMC daarin wereldwijd voorop loopt, is het Bio Science Park voor ons een veel logischere locatie. Vanuit hier willen we de komende jaren verder aan onze gentherapie werken.”

NTrans ontstond in 2015 nadat De Boer en Geijzen elkaar in het Utrechtse tegenkwamen. „Ik ben biochemicus van huis uit en heb onder meer hier in Leiden bij 2-BBB gewerkt. Maar intussen heb ik ook mijn MBA gehaald om zelf een bedrijf te kunnen starten”, legt De Boer uit. „Niels had een geavanceerde methode ontwikkeld om eiwitten voor gen-editing heel precies in cellen te bezorgen. Die

„
We weten dus dat het in het lab werkt, de komende jaren moeten we de methode uit gaan bouwen

methode vormt nu de basis onder de gentherapie die we ontwikkelen.”

Duchenne

Het bedrijf werkt aan een middel tegen Duchenne spierdystrofie. De Boer: „Dat is een vreselijke aandoening die wordt veroorzaakt door een erfelijke mutatie in het gen dat

een eiwit aanmaakt voor de stevigheid van spiercellen. Door die mutatie mis je dat eiwit waardoor je je spieren vernielt zodra je ze gebruikt. Kinderen met de ziekte belanden rond een jaar of tien in een rolstoel en worden vaak niet ouder van 30 jaar.” Duchenne is tot nu toe ongeneeslijk. „Dat is waarom wij er aan werken. Wij willen een gentherapie maken die het gen corrigeert zodat het eiwit toch weer wordt aangemaakt. Daarvoor gebruiken we de CRISPR-Cas methode die DNA op heel specifieke plekken knipt en repareert waardoor de cel weer naar behoren werkt. Om te zorgen dat CRISPR-Cas in de spiercellen terecht komt, combineren we deze met ons bezorgsysteem. Dat bestaat uit een aantal stoffen die spiercellen ertoe aanzetten om de vloeistoffen om hen heen op te nemen. Als daar CRISPR-Cas in zit komt dit in de cel terecht waar het zijn werk kan doen.”

Het klinkt als science fiction, maar de labresultaten zijn hoopvol, stelt De Boer: „Hier in het laboratorium kweken we spiercellen waarop we deze methode kunnen testen. In die cellen zien we dat het precies werkt zoals voorzien.” Hij laat een foto van een groen-rood gekleurd stukje spier-DNA zien: „Het rode deel van dit cel-DNA is niet in orde en moet

worden vervangen. Op de volgende foto zie je wat er na een paar dagen is gebeurd nadat we onze gentherapie hebben geïnjecteerd: alles is groen, het gen is gerepareerd. We weten dus dat het in het lab werkt, de komende jaren moeten we de methode uit gaan bouwen. Uiteindelijk willen we naar klinische studies toe werken om te onderzoeken of het ook in mensen werkt.”

Mogelijkheden

Om dat te doen heeft het bedrijf vorig jaar twee miljoen euro investeringsgeld opgehaald. Toch zal het volgens de De Boer nog jaren gaan duren voordat NTrans met een medicijn komt. „Bewijzen dat het in mensen werkt is voor nu ons belangrijkste doel. Mocht de gentherapie inderdaad effectief zijn dan zullen we over enkele jaren moeten beslissen hoe we het bedrijf verder gaan ontwikkelen. We zouden zelf klinische studies kunnen opzetten, of misschien dat we de gentherapie licenseren aan een groter bedrijf. Dan zouden wij ook verder kunnen met andere toepassingen voor onze bezorgmethode, want die is ook geschikt voor andere spierziekten, en wellicht ook kanker. De mogelijkheden zijn heel groot, het is aan ons om die te ontdekken.”

NTrans

Idee: Een gentherapie ontwikkelen voor de behandeling van de erfelijke spierziekte Duchenne Musculaire Dystrofie.

Waar: het Biopartner 2-gebouw

Wie: Marco de Boer (50), mede-oprichter en CEO.

Aantal medewerkers: 7

Investing € 6 miljoen

In de vorm van: innovatiekredieten, durfinvesteringen en subsidies

Investeerders? Starfish Innovations, BOP Capital, Essential Investments, Utrecht Health Seed Fund

Die naam? „NTrans, is fonetisch voor het Engelse woord *entrance*, want dat is wat wij doen: wij verschaffen geneesmiddelen toegang tot cellen.”