

WERVINGSPROCES GENTHERAPIE VOOR RAG1-SCID (RECOMB CONSORTIUM)



RECOMB consortium

RECOMB is een onderzoeksconsortium, gestart in 2018, dat klinische experts en onderzoekspersonals van 16 Europese en 1 Israëlisch instituut samenbrengt met ervaring in aangeboren immuniteitsaandoeningen, zoals ernstige gecombineerde immunodeficiëntie (SCID).

Het project wordt gefinancierd vanuit het Horizon 2020 programma van de Europese Unie.

RECOMB klinische studie

FASE I/II

De baby met RAG1-SCID zal worden opgenomen in de gentherapie-eenheid van [insert hospital and/or department] om zijn behandeling te ontvangen, en hoeft dus niet naar het buitenland te reizen.

De studie bestaat uit de infusie van autologe CD34+ -cellen getransduceerd met het RAG1-lentivirus bij patiënten met SCID als gevolg van RAG1-deficiëntie. De studie heeft al twee patiënten opgenomen met een goede uitkomst nadat zij inmiddels maximaal twee jaar zijn opgevolgd.

DOEL

Het bieden van een nieuwe therapeutische optie op basis van gentherapie aan pasgeborenen en baby's met een van de meest voorkomende vormen van SCID: RAG-1-deficiëntie

CRITERIA

INCLUSIE	EXCLUSIE
Genetisch bevestigde RAG1-SCID	HLA-gematchte donor beschikbaar
Leeftijd jonger dan 2 jaar	Perifere T-cellen > 300/uL en/of naïeve T-cellen > 1/uL
Geen HLA-gematchte donor beschikbaar	Omenn syndroom
Perifere T-cellen < 300/uL en/of naïeve T-cellen < 1/uL	Eerdere stamceltransplantatie
Geen Omenn-syndroom	Aanzienlijke orgaandisfunctie

CONTACT

RAG1 trial study team
PROF. DR. A. C. LANKESTER

✉ rag1trial@lumc.nl
☎ 0031715262806
🌐 <http://www.recomb.eu/>

