

Tekst Webinar 'The Future is Now'

Hallo iedereen en welkom bij het webinar 'De toekomst is nu!' We zijn live op drie verschillende continenten, dus het is best spannend en een beetje zenuwslopend. We had wat problemen in de aanloop, maar we zijn hier en hopelijk werkt alles zoals we hadden gehoopt dat het zou werken. Laat ik beginnen met mezelf voorstellen: ik ben Sanne van Rijn, ik ben de ambassadeur van de Vereniging HCHWA-D hier in Nederland. Sommige van jullie kennen me misschien. Sommige van jullie in Australië kennen mij misschien ook, omdat we vorig jaar Perth en Albany bezochten, in 2020. Dus als iemand van mijn geadopteerde Australische familie kijkt: Hi, en ik mis jullie en ik hoop dat ik jullie snel weer kan bezoeken! Ik ga je een kleine introductie geven van het webinar en waar we het over gaan hebben en dan beginnen we met ons geweldige panel hier. Laat ik beginnen met Ellen te noemen, zij is onderdeel van het team in het LUMC en ze kon niet bij ons zijn vandaag vanwege persoonlijke redenen, maar ze heeft veel werk verzet om dit webinar te organiseren en dat wil ik niet onopgemerkt laten. Ellen, voor alles wat je tot nu toe hebt gedaan, dankjewel, en ook aan Karen die vandaag bij ons is, en me nu helpt dit webinar in Zoom te doen. Bedankt dat je hier bent. Ik hoop dat het iedereen is gelukt vandaag in Zoom te komen. Als je niet je eigen video ziet, doe je het goed, omdat je je eigen video niet hoort te zien. Als je ons ziet en de panelleden, doe je het goed. Aan de onderkant van je scherm zie je enkele opties en u ziet ook de mogelijkheid van de Q&A. Via de Q&A, kunt u uw vragen stellen. We behandelen de vragen aan het einde van het webinar, omdat we u eerst alle belangrijke informatie willen geven en daar behandelen we vragen.

Daarna uw vragen. Karen gaat ze voor me verzamelen tijdens het webinar en we hebben aan het einde van de webinar wat tijd om ze te stellen aan onze panelleden, dus de Q&A is waar je je vragen stelt. Dat doe je privé, dus niemand anders kan ze zien, het is gewoon tussen jou en Karen, voor nu.

Je zult inmiddels waarschijnlijk hebben opgemerkt dat het webinar in het Engels is. We doen dat omdat we het mogelijk wilden maken voor de families hier in Nederland én in Australië om het te kunnen volgen en alle informatie te krijgen. We maken ook een opname van het webinar, wat betekent dat je het later kunt bekijken als je wilt. We gaan later ook Nederlandse ondertitels toevoegen, dus iedereen die het lastig vindt om alles live in het Engels te volgen, kan later terugkijken met ondertitels.

Ik wil je laten weten dat het mogelijk is dat Marieke tijdens het webinar vertrekt, omdat ze dienst heeft in het ziekenhuis, dus het kan gebeuren dat haar telefoon afgaat en ze moet vertrekken.

Mark moet een beetje eerder vertrekken en Ralph moet misschien uit de meeting voor een paar minuten voor een radio-interview. Alsje zoiets ziet gebeuren, weet je waarom.

We doen het webinar met het thema 'The future is now', vanwege de zeer vitale ontwikkelingen in HCHWA-D onderzoek in 2021. Ik weet zeker dat de meesten van jullie inmiddels hier wat informatie over hebben meegekregen. Alle mensen die je nu ziet: de mensen Leiden, mensen in Australië, mensen in Amerika, hebben samen een consortium gevormd met twee farmaceutische partners, waardoor dit jaar zeer essentieel onderzoek begint in Nederland en in Australië. We willen ervoor zorgen dat ieder familielid dat geïnteresseerd is in deze ontwikkelingen, overweegt deel te nemen of gaat deelnemen op de hoogte is van deze ontwikkelingen.

En zij alle informatie hebben, die ze nodig hebben. We hopen dat we u kunnen motiveren om als deelnemer aan deze onderzoeksprojecten deel te nemen. We beginnen met iedereen die een korte introductie van zichzelf geeft, omdat waarschijnlijk de mensen uit Holland de mensen uit Australië niet kennen en de mensen uit Australië de mensen uit Holland niet kennen. We gaan een kleine ronde introducties doen en dan gaan we naar het programma. Marieke als je het goed vindt, wil ik met je beginnen, wil je jezelf voorstellen? Mijn naam is Marieke Wermer, ik ben een stroke neuroloog in het Leids Universitair Medisch Centrum en ik ben de hoofdonderzoeker van de Aurora studie die nog steeds loopt en die kijkt naar risicofactoren voor ziekteprogressie in Dutchttype CAA, en een van de hoofdonderzoekers van het Leidse team van TRACK, de nieuwe studie.

Ja, dankjewel.

Dus, Mark van Buchem, is mijn naam. Ik ben neuroradioloog en betrokken bij het onderzoek hier naar Dutchttype CAA. Fijn om jullie allemaal te ontmoeten. Steven? Ik vind het geweldig om iedereen virtueel te zien! Ik ben Steve Greenberg, ik ben een stroke neuroloog bij Mass General Hospital in Boston en ik ben al vele decennia betrokken bij CAA onderzoek. Ik ben zo enthousiast als maar kan om deel uit te maken van dit consortium en om deel uit te maken van de discussies van vandaag, dus dank aan iedereen die zich bij ons heeft aangesloten en voor al het harde werk om deze sessie op drie continenten samen te stellen. Dankjewel. Karen? Hallo iedereen mijn naam is Karen en ik woon momenteel ook in de United States, in North Carolina. Ik ben een arts assistent en aan de persoonlijke kant ben ik beïnvloed door CAA, omdat verschillende familieleden gediagnosticeerd zijn met een erfelijke vorm. Daarom ben ik begonnen met de Amerikaanse CAA patiëntenvereniging, genaamd 'CAA cure', drie jaar geleden. Dat gaat om een website en sociale media en het doel is om CAA-patiënten en zorgverleners in contact te brengen met artsen en onderzoekers. Dankjewel dat ik erbij mag zijn, vandaag.

Dankjewel, Karen. Dini? Hi, Ik ben Dini Plug. Ik woon in Australië. Ik ben de vertegenwoordiger van familie, nou ja, dat ben ik nu, ik ben de vertegenwoordiger van de familie, de familie Plug die het HCHWA-D gen draagt. Ik ben in feite het gezicht achter de mensen, de mensen van mijn familie die tot nu toe betrokken zijn bij de studie DIAN, en ik heb ook de middelen om contact op te nemen met een heleboel van hen, een heleboel andere mensen die ik hoop te bereiken via dit webinar en ook daarna. Ik woon momenteel in Tasmanië, maar mijn familie, het grootste deel van mijn familie, die betrokken zijn bij deze studie wonen in Perth, waar ik regelmatig langs kom. Dank je. Voor denegen in Nederland die zich afvragen hoe het mogelijk is dat er HCHWA-D in Australië voorkomt, Dini's familie verhuisde naar Australië vanuit Nederland in de jaren '50 en ze namen het gen mee, dus dat is de reden waarom hun familie daar ook is getroffen door de ziekte. Hamid?

Hallo iedereen, ik ben Hamid Sohrabi uit Western Australië. Ik ben psycholoog en werk bij Murdoch University in Perth in Western Australië. Ik ben erg enthousiast om hier deel van uit te mogen maken en waardeer alle inspanningen die Sanne, Dini, Karen en Ellen hebben geleverd om deze sessie mogelijk te maken. Dank je. Ja, het is erg spannend om dit webinar te doen. Ik weet niet of mensen begrijpen hoe, laten we zeggen, innovatief dit is dit is. Het is echt een samenwerking tussen patiënten of mensen die getroffen zijn door de ziekte en de betrokken onderzoekers en artsen, dus ik ben erg blij dat we de tijd hebben gevonden om samen te komen om dit te doen. Dus bedankt iedereen voor het feit dat jullie hier zijn. We gaan het verhaal vertellen van HCHWA-D onderzoek of Duchtype CAA onderzoek, wat een stuk gemakkelijker uit te spreken is, dus als niemand het erg vindt ga ik vanaf nu DCAA zeggen. We gaan een verhaal vertellen. Een beetje over de geschiedenis van het onderzoek, dat lange tijd vooral in Leiden werd gedaan, de ontwikkeling van onderzoek, hoe Australië daar ook bij betrokken raakte en hoe dat leidde tot de vorming van de consortium in 2021 en wat dat betekent. Wat de nieuwe studie TRACK DCAA inhoudt en wat het voor ons als familieleden en potentiële deelnemers aan het onderzoek betekent. Ik wil Leiden, Marieke en Mark vragen om af te trappen en ons een kort overzicht te geven van de geschiedenis van DCAA onderzoek in Leiden en ons uit te leggen waarom ziektebeloopstudies zo belangrijk zijn.

Heel erg bedankt. Ondanks de instructies heb ik toch een aantal dia's om met jullie te delen en Marieke en ik zullen deze presentatie samen doen. Er zullen misschien mensen zijn die misschien delen van deze presentatie al gezien hebben omdat ik een deel ervan ook in Perth deed, ongeveer

twee jaar geleden. Het is gewoon om wat historische achtergrond te geven om nog meer te kunnen waarderen waar we nu zijn . Okay, nu..

Hier op drukken ,oke.. Jullie weten waarschijnlijk allemaal waar Leiden en Scheveningen liggen. Dit is een zeer oude kaart uit de 17e eeuw: we zijn allemaal in de buurt van de kust. Dit is de stad Leiden en dat is het dichtstbijzijnde dorp aan de kust bij Leiden en dat is Katwijk. Er is dus een historische en een geografische band. In Katwijk is het al eeuwenlang bekend dat in bepaalde families een vroege dood door beroerte mogelijk is. In de jaren '80 ontdekte een hoogleraar neurochirurgie, professor Lujendijk, dat hij veel patiënten uit Katwijk ontving en hij begon zich af te vragen of er iets genetisch aan ten grondslag kon liggen. En werkte hij samen met de lokale huisarts dokter Timmers. Dat leidde uiteindelijk tot de ontdekking in 1990 in een presentatie, nee, in een publicatie in Science, een van de belangrijkste wetenschappelijke tijdschriften, waarin ze presenteerden dat ze het genetische defect ontdekten dat ten grondslag ligt aan het Nederlandse type CAA. In de jaren negentig, na die observatie, waren allerlei wetenschappelijke activiteiten die begonnen, die de ziekte beschreven, zowel in termen van de symptomen en de wetenschap, maar ook de manifestaties in het brein door middel van scans. Ze begonnen te kijken naar allerlei andere manifestaties van de ziekte en ze begrepen in feite ook dat het gebaseerd was op een specifiek autosomaal dominant erfelijk defect, wat betekent dat het niets te maken heeft met inteelt. Vaak wanneer je uitlegt geeft over een ziekte die afkomstig is uit een klein dorp, denken mensen dat het over inteelt gaat, maar het heeft daar niets mee te maken. Ze ontdekten dat de ziekte voorkwam in Katwijk en Scheveningen. Waarschijnlijk was er een gemeenschappelijke voorouder, waardoor de ziekte op twee locaties opdook.

Er werd ontdekt dat de ziekte is wordt veroorzaakt door een afwijking in de kleine bloedvaten in de hersenen en dat afwijkingen het resultaat waren van amyloïde: een bepaald peptide. Door het onderzoek werden de tekenen en symptomen van de ziekte duidelijker, die gemiddeld begonnen op ongeveer 50-jarige leeftijd. De ziekte presenteert zich vaak acuut en wordt gekenmerkt door een beroerte of plotselinge dood. Het ziekteverloop kan ook geleidelijker zijn met cognitief verlies als het belangrijkste symptoom en vaak heeft het een stapsgewijze progressie.

Het spreekt voor zich dat en het is niet verwonderlijk dat deze ziekte een enorm effect en impact had op getroffen families, omdat het hele families treft en elk familielid vijftig procent kans heeft

gendrager te zijn. De toekomst is onzeker voor de getroffen en ook degenen die (nog) niet zijn getroffen en niet weten of ze de ziekte hebben. Het geeft aanleiding tot angst en die neemt toe wanneer de leeftijd van 50 nadert en wanneer de eerste symptomen zich lijken voor te doen. Voor nakomeling brengt de angst gendrager te zijn, veel vragen met zich mee. Een groot dilemma is: moet ik worden getest of niet? Een voordeel van getest te worden is dat je daarmee onzekerheid weg neemt, maar aan de andere kant als het is als je positief test op de ziekte nogal een last. De negatieve keuze om niet getest te worden, uhm, wil je niet, uhm... Ik bedoel de je wilt niet weten over je lot. En er zijn allerlei culturele kwesties maar ook praktische zaken zoals levensverzekeringen die je kunnen hinderen als je positief blijkt te zijn voor de ziekte.

Dus er zijn allerlei dilemma's in de families. Het eerste onderzoek zoals ik al zei was in de jaren '80 en '90 en ze ontdekten de erfelijke aard, het genetische defect. Ik noemde al eerder dat ze de ziekte beschreven in detail en aanvankelijk werd het gezien als een variant, een genetische variant, van de ziekte van Alzheimer. Om de een of andere reden verloor de wetenschappelijke gemeenschap hun interesse, ze dachten dat het een zeer zeldzame ziekte was, die slechts in een paar gezinnen voorkwam, en ze gingen zich met andere dingen bezighouden. De Katwijkse gemeenschap voelde zich in de steek gelaten. Ondertussen veranderde de wereld, omdat er wereldwijd een toenemend bewustzijn was dat dementie niet alleen over de ziekte van Alzheimer gaat, maar dat ziekten die van invloed zijn op de bloedvaten in de hersenen, een belangrijke bijdrage leveren aan dementie. Zo ook professor Greenberg, hier aanwezig vandaag, en een echte pionier, die cerebrale amyloïde angiopathie op de kaart zette. Dit is een titel van een artikel dat hij een paar jaar geleden publiceerde en dat denk ik een goed beeld geeft van de situatie: "Kleine vaten, grote problemen." In Katwijk was er aanvankelijk, zoals ik al zei, teleurstelling dat er geen interesse meer was van de wetenschappelijke gemeenschap. Het is een erge ziekte, nee het spijt me dit gaat over CAA, dus cerebrale amyloïde angiopathie de, laten we zeggen dat de niet-genetische variant van, van de ziekte beschreven door professor Greenberg, is ook een erge ziekte. Er zijn geen behandelingsopties voor de ziekte en de mechanismen zijn onvolledig begrepen. Dat komt doordat de ziekte CAA tijdens het leven heel moeilijk te bestuderen is, omdat het heel moeilijk is om te bewijzen dat mensen worden getroffen door de ziekte. Ok, er waren meer veranderingen omdat DCAA aanvankelijk werd beschouwd als een model voor de ziekte van Alzheimer. Met de toenemende kennis van CAA werd duidelijk dat het eigenlijk een geweldig model is voor cerebrale amyloïde angiopathie. Het is een variant van CAA en heeft heel weinig of niets te maken met de ziekte van Alzheimer. Het werd duidelijk dat de genetische vorm van CAA in Katwijk bood kansen, die anders waren dan voor 'gewone' CAA. Het is bijvoorbeeld heel gemakkelijk om een diagnose van een Nederlands type CAA te stellen, omdat je een bloed kunt afnemen, en na analyse van dat

bloedmonster weet je of iemand gendrager is. Je hebt daarom geen hersenbiopten nodig hebt, die wel nodig zijn om niet erfelijke CAA aan te tonen. Omdat je weet welke families met de erfelijke vorm te maken hebben, weet je welke mensen je moet testen en welke mensen risico lopen. Het is ook een voordeel dat Katwijk een leuke plek is, waar mensen niet vandaan verhuizen, ze blijven daar allemaal, dus je weet waar je je onderzoek geografisch op moet richten. Dat geeft gemakkelijke toegang tot deelnemers aan onderzoek. En dus werd geconcludeerd dat de Katwijkse families erg interessant zijn en een geweldige bron om daadwerkelijk te beginnen met het begrijpen van CAA, omdat de lessen die we leren over Dutchtype CAA relevant kunnen zijn voor CAA, wereldwijd. Oke, dus dat was een deel van de geschiedenis. Toen waren er een paar ontmoetingen in de vroege jaren van dit millenium. Ik had een sabbatical, in 2006 in Boston en ik had het genoeg om daar toevallig professor Greenberg te ontmoeten, die, zoals ik al zei, de pionier en de 'Godfather', van CAA is. We ontmoeten elkaar op Harvard medical school en begonnen met elkaar te praten. Hij ontdekte dat ik uit Leiden kwam en ik ontdekte dat hij een

onderzoeker op het gebied van CAA. We bedachten dat we de krachten moesten bundelen om onderzoek doen naar Dutchtype CAA en zo ook meer te weten te komen over CAA. We besloten om samen een subsidie-aanvraag te schrijven, die in 2011 werd toegekend door het 'National Institute of Health'. En dat was de eerste herstart, na de wetenschap in de jaren negentig, van onderzoek naar het Nederlandse type CAA. Dus dat was één belangrijke ontmoeting. De tweede ontmoeting was in 2011 toen ik Janny de Vreugd en haar dochter Sanne ontmoette, die vandaag de sessie leidt. Zij waren onlangs, voordat we elkaar ontmoeten, een patiëntenorganisatie voor Dutchtype CAA oprichtten. Wat me opviel tijdens die ontmoeting was het enthousiasme, de hoop, ondanks het ontbreken van een behandeling, en wat me ook opviel is hoe ze zich in de steek gelaten voelden nadat de wetenschappers in de jaren negentig een stopten met onderzoek op dat gebied. Wat me ook opviel was, nee, wacht.. Nadat ik hen ontmoette had ik een persoonlijke worsteling, omdat ik dacht: 'Ik wil niet in dezelfde situatie komen als de onderzoekers in de jaren '90 en beloften doen die ik niet na kan komen en de families opnieuw in de steek laten.' Dus dacht ik erover na hoe we een duurzame verbintenis konden creëren en blijvend onderzoek konden doen tot er een behandeling is. Terwijl ik aan het nadenken was hoe dat te doen, ontmoette ik een man genaamd Jan Fens, die een ondernemer uit Rotterdam is. Net voordat ik hem ontmoette was, twee weken voor die ontmoeting, werd hij gediagnosticeerd met Dutchtype CAA en hij wilde bijdragen aan onderzoek. Hij was ervan overtuigd dat andere ondernemers misschien hetzelfde zouden denken en we besloten om samen te werken. We begonnen de Dutch CAA Foundation, om in te kunnen zetten op duurzaam

onderzoek in het LUMC naar de Katwijkse ziekte, dus Dutchtype CAA. Later richtten we ook de internationale CAA association op, die

een tweejaarlijkse wetenschappelijke bijeenkomst organiseert over CAA. Zo konden we hier een blijvende verbintenis maken. Toen was er drie jaar later nog een ontmoeting in Londen, bij een van de CAA symposia, georganiseerd door de internationale CAA association. Dat was met Hamid Sohrabi, die hier ook is vandaag. Via hem begrepen we dat er een familie met DCAA in Australië was. Een uitgebreide familie in Albany in Australië was. We begonnen te praten en na gesprekken en vervolggesprekken met zijn collega's Ralph Martins en Kevin Taddei, besloten we dat we graag wilden samenwerken. We wilden graag samen onderzoek doen en onze krachten bundelen, om zo uiteindelijk een behandeling voor de ziekte te vinden. Zo begon 'United we Stand'.

Momenteel hebben we een rijk onderzoeksprogramma hier in Leiden, samen met Boston, gericht op Dutchtype CAA. Dat begon met de subsidie van de NIH, zoals ik al zei, en dat was echt de eerste keer dat met behulp van moderne technieken zoals MRI en andere markers, de ziekte werd bestudeerd. Om zo beter te kunnen begrijpen waar het allemaal om draait. Nu zal Marieke enkele van de onderzoeken uitleggen die daarna begonnen. Ja, nou, dus, nadat die onderzoeken klaar waren, dacht ik: 'Wat jammer'. Omdat we daar zoveel van hebben geleerd. Dus ik probeerde extra financiering te krijgen en ik kreeg een persoonlijke beurs van de Nederlandse Hartstichting, om een ziektebeloopstudie te starten naar DCAA, maar ook sporadische CAA. Ik was vooral echt geïntrigeerd door de variatie die we zien in bijvoorbeeld DCAA. Alle patiënten hebben dezelfde mutatie, en hebben gemiddeld hun eerste bloeding rond de leeftijd van 55, maar we weten dat sommigen al de eerste bloeding hebben als ze 40 zijn en anderen 60 of 65. Het doel van AURORA is om te kijken naar factoren die dit ziekteverloop kunnen beïnvloeden en daarvoor moeten we eerst natuurlijk een goed duidelijk beeld hebben van hoe de ziekte zich ontwikkelt. Dat is nog steeds aan de gang. We hebben nu 80 patiënten die meoden, pre-symptomatische mutatiedragers, en het doel is om 100 te bereiken en ze vijf jaar te volgen. Dat is dus momenteel aan de gang. Ik wil een kort moment nemen, omdat ik vergat het team voor te stellen. We zijn hier niet alleen, Mark en ik, we worden vandaag vergezeld door een aantal PhD studenten en Thijs van Os, dus misschien ook goed om te weten voor het publiek dat we een zeer enthousiast team hebben, dat geïnteresseerd in dit onderzoek. Dat we samen zullen voortzetten tot er hopelijk een medicijnonderzoek is.

(even kijken hoor.. nee, linksonder...)

Oke, dank je, professor Wermer.

Dus eigenlijk zitten we nu in een situatie dat er een totale renaissance van het Dutchtype CAA onderzoek is. Er is onderzoek vanuit een uitgebreid netwerk met nationale en internationale samenwerkingen, zoals vermeld. Leiden, Boston en Perth, en Nijmegen, een andere stad in Nederland en we proberen echt informatie te delen. Het is niet zo dat dat duizenden mensen deze ziekte hebben, het gaat om een beperkt aantal mensen en aantallen zijn belangrijk, dus we waren echt erg blij, om allerlei redenen, om samen te werken met Perth. We proberen echt expertise, ervaring en gegevens uit te wisselen. Dit geeft aanleiding tot allerlei nieuwe mogelijkheden, omdat de aantallen deelnemers toenemen. Even kijken, dit is... is wat we hier hebben besproken. Er is de Dutch CAA Foundation en dat is misschien leuk om te weten: dat er echt een zeer nauwe samenwerking tussen patiënten en onderzoekers is. Het doel is om geld in te zamelen voor onderzoek, organisatie en bewustwording. Het heeft een internationale adviesraad en is echt een mooi platform waar wetenschappers en patiënten aan meewerken. Samen sturen we de agenda aan en een hopen we de situatie te bereiken waarin de ziekte zal worden overwonnen. Ik vind het belangrijk om te benadrukken dat we bewust een logo hebben gecreeërd met de sleutel centraal in beeld, om aan mensen duidelijk te maken, met name farmaceutische bedrijven, dat ja,

de ziekte misschien 'klein' is, maar dat het een impactvolle ziekte is in een kleine populatie, die bovendien de sleutel kan zijn voor een oplossing voor CAA wereldwijd. Dat is dus iets waar we opzettelijk op hebben in gezet en waarom we dit model bedachten, en dat heeft gewerkt. We organiseerden allerlei bijeenkomsten, sportbijeenkomst, Jan Fens werd overal gezien, zoals in tv interviews, en we creeërden behoorlijk wat budget, we haalden bijvoorbeeld op één avond een half miljoen op, dat werd geïnvesteerd in onderzoek. Sinds 2012 organiseert de internationale CAA association een bijeenkomst waarin vrijwel alle wetenschappers die werken aan CAA samenkomen. Dat is een geweldig platform voor het uitwisselen van ideeën en het aansturen van de onderzoeksagenda. Verder doet de patiëntenvereniging geweldig werk in het uitbreiden van bewustwording over de ziekte in de gemeenschap, en het dient als platform voor het uitwisselen van ervaringen tussen patiënten, etcetera. Zij doen hun werk goed, zijn goed georganiseerd en hebben sterke banden met de wetenschappers hier en met het klinische team. We hebben hier ook een geweldig klinisch team met ervaren neurologen en andere disciplines die zich met de ziekte bezighouden. Daarmee hebben we denk ik een uniek ecosysteem opgebouwd, met artsen, patiënten, onderzoekers en bedrijven. Dit is wat ik altijd graag laat zien: wereldwijd zijn

onderzoekers die zich bezighouden met CAA en vasculaire dementie geïnteresseerd in een dorpje.. dit dorpje komt uit een bekend boek in Nederland, dat is... Nou ja, als je het niet kent, zal ik er niet meer tijd aan besteden. Wat belangrijk is, is dat we interesse wakte bij grote bedrijven, die beseften dat we interessant zijn als business case en beseften dat het de moeite waard is om te investeren in het onderzoek naar de Katwijkse Ziekte. Ze beseften dat ontdekkingen die we doen in deze groep, breder getrokken kunnen worden, en dat een mogelijke behandeling voor Dutchtype CAA, ook mogelijk relevant kan zijn voor CAA wereldwijd. Dat was dus echt een 'game changer'. Al twee jaar geleden begonnen we met de voorbereiding van een consortium, et wederom de Vereniging HCHWA-D, de Dutch CAA foundation, onderzoekers uit ons wereldwijde netwerk en farmaceutische bedrijven. Dat was het startpunt voor het huidige consortium, dat we later deze sessie zullen bespreken, toch Sanne? Ja, dat klopt. Ja, oke, bedankt, dit was onze bijdrage.

Heel erg bedankt voor dat overzicht van de geschiedenis van het onderzoek naar DCAA. Ik weet zeker dat het zelfs handig was voor de mensen hier in Nederland, omdat we dit al zo'n 14 jaar doen, en ik denk dat het goed is dat we af en toe

gewoon een overzicht hebben van wat er in die 14 jaar is gebeurd, omdat de situatie veel hoopvoller is geworden voor ons als familieleden. Ook al hebben we soms het gevoel dat het nooit snel genoeg is, we hopen altijd dat je sneller kunt gaan, maar er gebeurt veel en dat is goed om te weten, dus bedankt daarvoor. We komen later bij je terug voor de uitleg over wat de nieuwe studie inhoudt. Ik ga nu naar Steven. Steven, die de "co-kapitein" is met Mark, en hij gaat ons meer vertellen over zijn visie op de relatie tussen CAA en DCAA en hoe die relatie heeft geleid tot het consortium en de samenwerking met Alnylam en Biogen. Nog één ding: als je vragen hebt, aarzel niet om ze te vragen via de Q&A. Wij verzamelen ze en stellen ze aan onze panelleden aan het einde van het webinar. Steven? Heel erg bedankt, Sanne, en dank aan professoren van Büchem en Wermer voor een prachtig overzicht van hoe we zijn gekomen tot waar we zijn. Ik kan zeggen dat één van de echt opvallende kenmerken van het werken met Dutchtype CAA, is dat het letterlijk één grote familie betreft en dat geldt niet voor veel andere erfelijke ziekten waarbij dezelfde genetische mutatie afzonderlijk ontstaat. Mensen met deze ziekte maken letterlijk deel uit van één grote familie en ik heb het gevoel dat iedereen die deelneemt aan deze webinar ook één grote familie is, zelfs degenen onder ons die niet aan elkaar verwant zijn. Dat dit, zoals professor van Buchem liet zien, een reis is geweest om tot dit punt te komen en dat we dat samen hebben gedaan en allemaal onze bijdragen hebben geleverd. En, om de metafoor gaande te houden, er is een grote uitgebreide

familie.. Ik denk dat iedereen van die neven heeft die je wel kent en er neven zijn die je niet echt kent, die zich buiten je cirkel bevinden en die je nog nooit hebt ontmoet en toch familie zijn. Hier heb ik het over de grotere, wat we de “sporadische CAA gemeenschap” noemen. Sporadisch betekent dat ze geen genetische vorm van CAA hebben, en dat is echt een grote gemeenschap, terwijl de mensen met Dutchtype CAA een soort kleinere groep vormen in het centrum van de mensen die getroffen worden door CAA. CAA is echt een wereldwijde en een vrij universele aandoening, geschat wordt dat ongeveer 25 of 30 procent, een op de vier of een op de drie mensen, op zijn minst wat we noemen “matig tot ernstige CAA” krijgen, naarmate ze ouder worden. Dat maakt het een zeer veel voorkomend probleem is, dat bij veel van die mensen bijdraagt aan cognitieve achteruitgang op latere leeftijd. Het maakt deel uit van het beeld van wat cognitieve achteruitgang veroorzaakt en een subgroep binnen die groep heeft hersenbloedingen die voor hen erg lijkt op Dutchtype CAA. Het verschil is dat deze beginnen op een later tijdstip in het leven. Dus, dat onderstreept echt het feit, zoals Mark al liet zien, dat DCAA een sleutel kan zijn. Dat er een goede en een slechte kant zit aan DCAA. Ik hoef aan niemand van de aanwezigen hier de slechte kant uit te leggen. De slechte kant is dat het een ziekte is die boven het hoofd hangt van veel mensen die te jong zijn en op een te vroeg tijdstip in hun levensloop moeten nadenken over hersenbloedingen. Dat is een enorme belasting voor de families en dat hoef ik niemand hier uit te leggen. Het goede nieuws is, omdat het genetisch is, dat al lang voordat je merkt dat je de ziekte hebt, iets te zien kan zijn op MRI-scans en andere soorten van bloedingen zichtbaar kunnen worden gemaakt. Dat maakt het mogelijk om de ziekte te behandelen in een fase die anders niet mogelijk zou zijn. Ik denk dat dat vrij duidelijk is dat dat is wat de farmaceutische gemeenschap aantrekt. En, en, Mark noemde de bedrijven die deel uitmaken van het consortium: Biogen en Alnylam. Ik moet daarbij zeggen dat ik het belangrijk vind dat duidelijk is dat niemand van ons werkt voor een farmaceutisch bedrijf. Al ons werk wordt gefinancierd door overheidsinstanties en we werken voor jullie, de families. Jullie zijn in feite ons bazen, jullie helpen ons in het zadel, niet de farmaceuten. Ik denk dat iedereen die films kijkt, zal zien dat de farmaceuten daar worden neergezet als de slechteriken. Ik denk dat mensen zich zorgen maken over hun winstmotieven en dat dat problemen zal veroorzaken. Ik kan met eerlijkheid zeggen dat het gemakkelijk is om samen te werken met Alnylam en Biogen. Ze hebben de wetenschappers, de vertegenwoordigers van de patiëntengemeenschap en de Dutch CAA Foundation alle kans gegeven om het voortouw te nemen bij alle activiteiten die we nu doen. Ze zijn slim en allebei de bedrijven hebben een track record van wat ik “doorbraakbehandelingen” noem, het zijn beide bedrijven die nieuwe soorten behandelingen hebben ontwikkeld voor ziekten die anders erg moeilijk te behandelen zijn. Dat is natuurlijk wat we nodig hebben voor Dutch CAA.

Dutch CAA en sporadische CAA zijn grotendeels onbehandelbare aandoeningen en we hebben baanbrekende behandelingen nodig. Het feit dat ze kandidaat doorbraakbehandelingen hebben ontwikkeld, komt op hetzelfde moment dat alle andere bouwstenen die nodig zijn voor een medicijnonderzoek vergevorderd zijn. Ik durf te zeggen dat alles wat er is gebeurd ons naar dit moment heeft gebracht. Omdat we nu de tools en de tests hebben, zoals de verschillende MRI-scans, waar waarschijnlijk veel mensen die nu kijken aan hebben deelgenomen, de mogelijkheden op het gebied hersenvocht, middelen die op het gebied van de hersenen en bloed meer kunnen vertellen. Er zijn ook potentiële doorbraakbehandelingen op het gebied van CAA en Dutch CAA, hoewel het te vroeg is om te weten hoe die behandelingen eruit zullen zien. We hebben hier gesprekken over, maar we weten het antwoord nog niet. Wat we wel weten is dat er algemene nieuwe soorten baanbrekende behandelingen zijn, die worden overwogen door de bedrijven. Waar we erg enthousiast over zijn. Dan hebben we het over RNA-gerichte behandelingen. Als je terugdenkt aan wat je op school hebt geleerd bij biologie, hierin de VS op de middelbare school, is RNA hetgeen wat de DNA codes voor eiwitten vertaalt en daarna uitvoert. Het richten op het beïnvloeden van het RNA is een opwindende mogelijkheid, die nu onderzocht wordt voor verschillende genetische aandoeningen. Met het blokkeren van het 'slechte' RNA, zou je het 'slechte' eiwit kunnen blokkeren. Het meest aantrekkelijke aspect van deze aanpak is dat het specifiek is, het stelt je in staat om een behandeling te ontwikkelen die echt geen invloed heeft op andere processen in het lichaam en alleen gericht zijn op dat ene 'slechte proces'. Ik heb begrepen dat sommige mensen zich afvragen of bij deze technieken embryonale cellen of embryonaal weefsel gebruikt wordt. Dat is niet zo, voor deze behandelingen wordt alleen materiaal gesynthetiseerd door machines gebruikt, zonder gebruik te maken van menselijk weefsel of embryonaal weefsel. Het staat daar volledig los van. Veel mensen die nadenken over het meedoen aan onderzoek hebben ook vragen over de noodzaak van een lumbaalpunctie, waarmee met een naald in de rug hersenvocht wordt afgenomen. De reden dat dat een essentieel onderdeel is van elke RNA gerichte behandeling is dat het RNA dat je wilt beïnvloeden alleen in de hersenen wordt gemaakt. Je kunt daarom alleen in het vocht dat om de hersenen heen zit, meten of de behandeling werkt. Het is niemands favoriete onderdeel van het meedoen aan onderzoek, maar het is een onmisbare factor in deze baanbrekende kandidaat behandelingen gericht op het RNA.

Ik wil afsluiten met te zeggen dat ik hou van de titel van deze sessie: 'The future is now', gebaseerd op het idee dat alles wat we tot nu toe hebben gedaan tot wat we nu samen voor elkaar hebben. We de tools hebben die we nodig hebben, maar ook de toewijding van de gemeenschap, en daarmee bedoel ik de wetenschappers, maar belangrijker nog, de families. De mensen die je hier in het panel ziet, zijn de mensen die samen bepalen wat er gebeurt. We zijn het allemaal eens dat dit

de tijd is om de ziekte te stoppen voordat hersenbloedingen zich voor doen, om de ziekte te stoppen voordat die schade aanricht, en dat we goed op weg zijn naar een behandeling. We noemen dit onderzoek meestal TRACK DCAA, omdat we de ziekte 'tracken', of een ziektebeloopstudie, maar het is ook een zogenaamde 'trial run in' onderzoek, waarmee we alvast het onderzoek zo inrichten dat een medicijnonderzoek daar gemakkelijker het vervolg van kan zijn, met dank aan de mensen die aan het onderzoek mee doen. Dat is natuurlijk ook de reden dat de farmaceutische bedrijven in deze fase betrokken zijn, om vervolgonderzoek mogelijk te maken. Ik kijk ernaar uit om jullie vragen te beantwoorden, maar ik spreek denk ik voor alle onderzoekers in dit panel dat dit de meest opwindende tijd is die we op dit onderzoeksgebied ooit gezien hebben. Dat alle jaren waar Mark zo mooi over sprak, het gevoel dat de gemeenschap had dat ze in de steek werden gelaten toen het onderzoek een beetje vast liep. Ik denk dat dit de beloning is, beloning is misschien niet het goede woord, maar het samenkomen van alle inspanningen van de wetenschappers en in het bijzonder de families hebben gedaan, om op dit punt te komen. We weten niet welke behandeling uiteindelijk Dutch CAA zal stoppen, maar we weten dat we sterke kandidaten en de tools hebben om dit te onderzoeken en hopelijk laten zien dat ze werken. Ik dank iedereen voor hun tijd en ik kijk uit naar de vragen aan het einde van deze sessie.

Heel erg bedankt, Steve. En ik hou van het beeld van ons als een grote familie, omdat ik weet dat het zo voor mij voelt, met jullie, en ook met de Australische families. Ik hoop dat ze het gevoel hebben dat ze ook deel uitmaken van de gemeenschap. We hebben natuurlijk zeer nauwe contacten via de Vereniging en de Foundation met jullie en ik denk dat het goed is voor iedereen om te zien hoe toegewijd je bent en hoe hoopvol je nu bent, dus bedankt daarvoor. Je hintte over de grotere CAA gemeenschap en ik heb daarover een korte anekdote. Vanmorgen kwam één van de oude basisschoollerares, hier in Katwijk, van mijn moeder hier op bezoek en hij heeft CAA en is dus een deel van de Dutch CAA familie, of de CAA familie. Hij zei dat hij zou kijken en ik hoop dat het hem gelukt is om via de link in de Zoom meeting te komen. Dus mocht je kijken, mees Kees, ik hoop dat het goed te volgen is!

We gaan naar Mark en Marieke, die ons gaan vertellen over TRACK DCAA en wat de studie inhoudt, dus aan jullie het woord.

Oke, om te beginnen is het misschien goed, voordat ik het woord virtueel overdraag aan Marieke.. Ik heb al uitgelegd hoe in de afgelopen jaren mensen en organisaties opdoken die samen gingen werken. In 2019 hadden we onze eerste gesprekken in Leiden met de mensen uit Perth en Steven en leden van zijn team. We besloten om dit consortium te starten, om een consortium te organiseren,

en de volgende stap was om bedrijven te vinden die geïnteresseerd waren. Dat waren de bedrijven die professor Greenberg net noemde: Alnylam en Biogen.

Het duurde een tijdje om alles te organiseren, samen met advocaten, maar er is nu een contract dat goed in elkaar zit en niets weerhoudt ons ervan om nu te beginnen. En dat is wat we gedaan hebben. Marieke, professor Wermer, zal jullie meer vertellen over de studie TRACK DCAA.

Ik denk dat we met het consortium hebben afgesproken dat, hoewel we uit eerder onderzoek al veel geleerd hebben, dat we echt wat meer informatie nodig hebben, vooral over biomarkers, om echt aan de slag te gaan met medicijnonderzoek. Daarom hebben we het onderzoek TRACK DCAA ontworpen. Voor de Nederlandse kijkers, vergelijkbaar met de AURORA studie, hoewel we nu meer diepgaand onderzoek gaan doen. Wat dat inhoudt is dat we 100 deelnemers willen laten meedoen in Nederland en Australië, dus 50 hier in Leiden en 50 in Perth. Het onderzoek zal 2 jaar duren, dus met 3 onderzoeksdagen, deelnemers zijn dus in totaal drie keer aanwezig. De eerste keer voor de basismeeting, dan na een jaar voor een follow-up en dan na twee jaar voor een follow-up.

Wat de onderzoeksdag inhoudt, is verschillend door de verschillende logistiek in Leiden en Perth, maar hier in Leiden ben je er 2 dagen. We doen de 3 tesla en de 7 tesla MRI, in Perth alleen de 3 tesla scan. We doen een lumbaalpunctie, waarvan Steve al heeft uitgelegd hoe belangrijk die is voor dit onderzoek, en we doen een PET-scan. Die is ook nieuw, voor ons hier in Leiden, en dus anders dan het AURORA onderzoek. Daarnaast doen we veel neuropsychologische en neurologische testen om een goed beeld te krijgen van hoe iedereen functioneert, en enkele bloedonderzoeken. Mensen tussen de 25 en 60 jaar die weten dat ze de gen mutatie hebben of van wie tenminste één eerstegraadsfamilielid de mutatie heeft, kunnen meedoen. Verder is het belangrijk, dat mensen maar één symptomatische bloeding mogen hebben gehad, die meer dan één jaar geleden is. Natuurlijk is het ook belangrijk dat er geen contra-indicaties zijn voor de MRI, zoals ijzer in het lichaam, die mensen sluiten we uit.

Dus dat is de opzet van het onderzoek. En ja, we zijn erg blij dat we net de eerste deelnemer hebben mogen ontvangen en, ik denk, ik kijk even naar onze onderzoeksverpleegkundige Marilyn, dat de volgende dertien voor de komende weken gepland staan. Ik denk dat het een goede start is en we hopen dat Perth ook binnen de komende maanden zal starten. Ik beantwoord graag eventuele vragen, als er vragen zijn van het publiek over het onderzoek. Dat TRACK DCAA wordt genoemd, maar we in Nederland ook wel AURORA PLUS noemen.

Jep, ja, bedankt voor deze informatie. Ik zie dat er nog geen vragen zijn. Ik wil graag één ding benadrukken, zou je ons kunnen vertellen in welke leeftijdscategorie mensen kunnen deelnemen? Dat is 25 tot en met 60 jaar. Ja, dus mensen binnen deze leeftijd range kunnen meedoen. En nog één ding dat ik wil benadrukken, is dat we, in ieder geval hier in Nederland, ervoor kunnen zorgen dat mensen die hun genetische status niet willen weten, kunnen meedoen. Jullie heb het logistiek zo geregeld dat ze er nooit achter kunnen komen. Toch? Ja, en als je niet voldoet aan de inclusiecriteria, omdat je te oud of te jong bent of omdat je te veel bloedingen hebt gehad, kun je nog steeds deelnemen aan het AURORA onderzoek, in ieder geval hier in Nederland. Dus ja, iedereen die zich tot nu toe heeft aangemeld, die niet in aanmerking komt voor TRACK DCAA, kan nog steeds in aanmerking komen om deel te nemen aan ander onderzoek. Ja, precies.

Ja, precies. Ja, oke, oke, dank je. Ik zie dat er tot nu toe geen vragen zijn, maar mocht er iemand met een vraag zijn, stuur ze alsjeblieft in de Q&A en wij zullen ervoor zorgen dat we je vraag aan ons panel voorleggen. We gaan naar Ralph. Ralph en Hamid vertegenwoordigen het Australische team en gaan ons meer vertellen over de geschiedenis van het onderzoek naar de familie Plug aan DIAN en over hun huidige betrokkenheid bij TRACK DCAA en het consortium. Dus Ralph, aan jou de eer.

Dankjewel, Sanne. Laat ik voorop stellen dat Hamid een zeer belangrijke rol speelt in dit project en daarnaast Kevin, die vast online ergens aanwezig is, en Samantha Gardner, die ook een centrale rol speelt. Dus dat is ons kernteam. Ik heb de afgelopen 35 jaar gewerkt aan Alzheimer, te beginnen met de identificatie van beta-amyloïde, in het lab van Colin Masters, hier in Perth. En we zijn nu zo ver dat we kijken naar preventie en therapeutische benaderingen voor de ziekte van Alzheimer. Maar ongeveer 12 jaar geleden, of eigenlijk 13 jaar geleden, werden we benaderd door collega's in Washington. Zij wilden mensen samenbrengen die genmutaties hebben voor de ziekte van Alzheimer, zoals het APP-gen, waarvan je weet dat je familie daar ook in zekere zin deel van uitmaakt. Het probleem was dat, omdat het zo zeldzaam is, dat er niets werd gedaan voor deze families. Binnen deze studie werd er op zeven plekken in de Verenigde Staten onderzoek gedaan, één in het Verenigd Koninkrijk en drie in Australië, waarvan Perth er één was. Ik wist toen niks van de Nederlandse families in Perth, totdat ik het geluk had dat Dini Plug me belde en me vertelde over de APP mutatie in haar familie, een zeer grote familie. En ik wist niet zeker of ze serieus was, tot ik haar ontmoette en ontdekte dat dat het geval was. Zoals zo spijtig gebeurde in Nederland, het in de steek gelaten worden door onderzoekers, gebeurde ook hier. Er waren klinische onderzoekers die onderzoek deden binnen de familie, het gen identificeerde, een artikel schreven en daarna niet meer naar ze omkeken en dat is wanneer Dini naar me toe kwam. En dus was één van de dingen die ik probeerde te doen, was om Dini's familie onderdeel te laten uitmaken van DIAN in Perth, ondanks

dat er geen sprake was van Alzheimer, maar wel van een Alzheimer-achtig gen. Ik was erg dankbaar dat het hoofd van het onderzoek, professor John Morris in Washington, mij toestemming gaf om deze families in het onderzoek op te nemen. We volgen ze nu al minstens 12 jaar en DIAN volgt een vergelijkbaar spoor als waarmee we bezig zijn met Dutch CAA. We begonnen met een observatie onderzoek voor meerderde jaren en dat leidde tot een klinische studie, het zogenaamde DIAN-TU onderzoek. Daarvoor zijn nu drie geneesmiddelen geëvalueerd, die het amyloïde zouden beïnvloeden. Toen we met de farmaceuten gingen praten om dit te gaan doen, was ik er erg voorstander van om de familie Plug mee te laten doen in dit medicijnonderzoek, maar helaas kon dat niet, voor omdat er bezorgdheid was vanwege mogelijke bloedingen. Ze hadden het gevoel dat dat het hele onderzoek zou aantasten, dus opnieuw was er een gevoel van verlaten worden. Maar er was, denk ik, niet veel wat we er aan konden doen. We mochten in ieder geval door gaan met hen includeren in het onderzoek, in DIAN, tot we een andere bron van financiering vonden. Gelukkig, via Randy Bateman, die nu DIAN leidt in het consortium voor Alzheimer, hij stelde ons voor aan Steve Greenberg, professor Steve Greenberg.

We nodigden professor Steve Greenberg uit in Perth en hij gaf een presentatie aan veel van de familieleden van Dini. We waren erg onder de indruk van hun enthousiasme, ze kwamen van overal vandaan, vooral uit Albany. En het regende net als vandaag, waarschijnlijk vandaag nog minder erg dan toen, en dat toonde hun niveau van motivatie en interesse. En we hadden een aantal ontmoetingen met Steve, die erg gepassioneerd is om echt het verschil te maken, en het eerste waar hij aan dacht waren zijn collega's in Nederland, Mark en Marieke. Hij zei dat we onze krachten moesten bundelen, dus Steve is echt de bruggenbouwer die ons samenbrengt om ons naar dat niveau te brengen. En we hebben veel dingen geleerd van DIAN, waarvan ik hoop dat ze deze studie in de toekomst ten goede zullen komen. Met name, we hebben gekeken naar bloedbiomarkers en weet je toen we er ongeveer 10 jaar geleden naar begonnen te kijken, zagen deze biomarkers er niet erg goed, in termen van de nauwkeurigheid. Nu hebben we een stadium bereikt, voor Alzheimer, dat we meer dan 90 procent nauwkeurigheid bereiken. Ze zijn zo goed als, zeg, een hersenscan en zeer binnenkort zal een test beschikbaar zijn voor Alzheimer. Maar ik ben van plan om dit toe te passen, om te kijken naar enkele van deze biomarkers en misschien andere nieuwe, voor het Dutch CAA cohort. Om te zien of we veranderingen heel vroeg kunnen oppikken, en hoe de toestand vordert in de hersenen. Dus ik denk dat we veel te bieden hebben, maar ik denk dat onze gecombineerde krachten, en daarom hou ik van het idee dat we 'één familie' zijn, onze gecombineerde sterke punten zullen echt een verschil maken. Een beetje zoals het DIAN cohort. Sommige landen hadden maar zo'n acht tot tien mensen, en op zichzelf is dat niet genoeg, maar samen denk ik dat we gewoon over die hindernis komen en een groot verschil maken. Dus ik ben erg

enthousiast over deze onderneming. Wij zullen ook vrij binnenkort gaan beginnen. We hebben een stichting die Alzheimer voornamelijk ondersteunt, maar zij bieden ondersteuning bij de infrastructuur voor dit onderzoek en klinische ondersteuning, en we hopen ook een klinische faciliteiten te regelen om mensen in deze familie te helpen. We hebben nu een neuroloog die Mark en Steve heel goed kennen. Die hebben ons geholpen om een zeer goede stroke neuroloog in dienst te nemen, zodat mensen hulp kunnen krijgen naarmate de ziekte bij hen vordert. Ik zal het woord nu doorgeven aan Hami. Hamid, als je nog een paar woorden wilt zeggen? Hamid was echt de man die een zeer sterke relatie met Mark en Marieke ontwikkelde en ons naar die volgende stap bracht.

Dank je, Ralph. Dus ja, ik denk dat iedereen in dit panel zeer gepassioneerd is over deze nieuwe studie en we geloven dat deze nieuwe studie ons kan helpen om te begrijpen wat er gebeurt. Als we kijken naar de verschillende aspecten van veranderingen, van biomarkers, naar hersenscans, naar neuropsychologische en cognitieve metingen, en ga zo maar door. Hopelijk kunnen we de gegevens van deze studie overbrengen naar een klinische trial. Ik heb gezien dat onze Westerse Australische familie, de Nederlandse familie, hier, zeer gepassioneerd is over het helpen van ons om gegevens te verzamelen die we nodig hebben. En ik weet zeker dat ze ons zullen ondersteunen en we hopen dat ze anderen kunnen aanmoedigen om deel te nemen aan het onderzoek. Hopelijk kunnen we verder gaan met een groter cohort, een groter aantal deelnemers, die ons kunnen helpen om naar de een klinische studie, een medicijnonderzoek, te gaan. Dat was alles van mijn kant, bedankt.

Staat mijn video aan? Ja.. Bedankt, mannen, voor jullie perspectief vanuit Australië. Ik wil er voor de zekerheid voor zorgen dat iedereen begrijpt wat een biomarker is, omdat ik niet weet of iedereen in het publiek weet dat het een manier is om de ziekte te meten. Als ik dit verkeerd zeg, corrigeer me alsjeblieft, maar ze proberen manieren te vinden om op de meest nauwkeurige manieren het proces van de ziekte vóór de eerste bloeding te kunnen meten. Zoals we allemaal weten, wanneer je een gendrager bent, begint de ziekte niet met je eerste bloeding. En dit is erg belangrijk omdat het ook een manier is om de effectiviteit van een potentieel medicijn in medicijnproeven te meten. Ik wilde dat even uitleggen aan de mensen in ons publiek die dat niet weten. Het volgende punt op ons programma was voor... voor mij eigenlijk, oh dat ben ik! Oke.. om je iets te vertellen over onze campagne: Stop de Katwijkse Ziekte or Stop de Katwijk Disease, die we hebben.. We voeren campagne sinds mei, hier in Nederland en we hebben dat gedaan door posters aan de kant van de weg, advertenties in lokale kranten en online advertentie via google en facebook en andere sociale media. Dit project was een gezamenlijk project tussen de

patiëntenvereniging, de Dutch CAA Foundation en het team in Leiden. Dus we hebben samen de hele campagne ontworpen en het doel van de campagne was om mensen te motiveren om deel te nemen aan onderzoek. Zoals Marieke al zei, zijn er al 80 mensen, **80 mensen** uit Nederlandse families die tot nu toe hebben deelgenomen aan onderzoek.

En dat is goed, en een pluim voor die mensen, en ook voor de mensen in Australië die deelnemen, ik denk dat jullie al meer dan 10 jaar deelnemen, dus alle lof daarvoor. We hopen dat meer mensen uit Dutch CAA families besluiten om deel te nemen. In feite is de boodschap van de campagne: “als we willen dat er een medicijnonderzoek komt en een mogelijke behandeling in onze toekomst, is het aan ons om deel te nemen aan onderzoek”. Soms hebben mensen enige angst om deel te nemen, wat logisch is, ik bedoel het is een confrontatie met een ziekte waar je liever niet aan denkt, dus ik begrijp dat mensen angstig zijn om deel te nemen.

We proberen de boodschap over te brengen waaróm het zo belangrijk is om deel te nemen. En dat er hele leuke onderzoeksteams zijn, die er de hele dag voor je zijn in het ziekenhuis, en dat is dus niets is om bang voor te zijn. We hebben echt meer mensen nodig die deelnemen om deze studie tot een succes te maken en het hopelijk voort te zetten in een medicijnonderzoek. Tot nu toe hebben honderd mensen contact met ons opgenomen via de campagne en dat is geweldig.

Zoals je waarschijnlijk al hebt begrepen, zijn er voor elk onderzoek een aantal criteria, dus 100 mensen, of 110 mensen die contact met ons opnemen, betekent niet dat ze alle 110 deel kunnen nemen aan het nieuwe onderzoek, TRACK. Maar zo niet, dan kunnen ze in ieder geval in Leiden meedoen aan het AURORA onderzoek en/of het stamboomonderzoek. Dus geen van de aanmeldingen gaat verloren.

Ik praat met het Australische team over hoe we deze campagne ook naar jullie familie kunnen vertalen. Natuurlijk is de situatie heel anders, want jullie zijn één familie en hier worden tientallen families getroffen door DCAA. Dus de aanpak zal waarschijnlijk anders zijn, maar ik hoop dat door dit webinar, en natuurlijk gaan we door met de informatie, dat velen van jullie gemotiveerd raken om deel te nemen aan TRACK. Mark heeft het onderwerp van het belang van de lumbaalpunctie al aangeboord. Ik heb dit op de agenda staan voor Marieke en Mark, willen jullie hier nog iets over zeggen of hebben jullie het gevoel dat het de lading heeft gedekt? Misschien een extra opmerking: ik denk dat, waarom het zo belangrijk is naast de redenen al vermeld, is dat we weten dat de MRI-afwijkingen zich meestal ontwikkelen rond de leeftijd van 40 / 50 in het algemeen, maar in het CSF,

dus in het ruggenmergvocht kunnen we al enkele veranderingen zien bij mensen die zelfs rond de leeftijd van 30 zijn. En dat zal erg belangrijk zijn als we willen kijken naar het effect van behandelingen, zoals je eerder hebt uitgelegd. Het is erg belangrijk om biomarkers te hebben, want als we willen weten of het aantal bloedingen dat optreedt wordt beïnvloed, dan zou deze studie waarschijnlijk tientallen jaren duren voordat we weten of het werkt of niet. Dus we hebben een biomarker nodig, om te zien of de behandeling effectief is. En natuurlijk willen we ook een biomarker hebben die zeer betrouwbaar is bij jongere mensen. Dan kunnen we niet echt vertrouwen op de MRI, dus we denken dat daarom hersenvocht erg belangrijk is om de biomarkers te identificeren die nodig zijn om hopelijk over een paar jaar het behandelingseffect te meten. Dus dat is slechts één toevoeging die ik ja, ja die ik wil maken, om die redenen, ja.. En ik denk dat het doel daarvan is, op de lange termijn, dat je de ziekte wilt kunnen stoppen of de ziekte wilt vertragen, dus je moet er op de juiste leeftijd bij zijn om medicijnen te geven, zeg maar. Ja, we willen vroeg beginnen natuurlijk, als er een behandeling is. Ik denk dat we hopen dat we vroeg kunnen beginnen met de behandeling, ja, waarschijnlijk kun je schade voorkomen. Ja, precies, ja. Ja, en voor nu is de lumbaalpunctie de meest efficiënte biomarker die er is en het is ook het meest.. Je volgt mensen over de duur van twee jaar, je gaat de resultaten van het APP in het hersenvocht over die twee jaar vergelijken, en dat is de beste manier om dat te meten. Ja en we zullen ook kijken naar nieuwe biomarkers. Dat zal ook ons inzicht vergroten in welke mechanismen een rol spelen bij de ziekte en hopelijk kunnen we nieuwe behandeldoelen identificeren. Dus het is erg belangrijk, CSF, voor het onderzoek, ja. We weten natuurlijk dat het een belasting is voor onze deelnemers, dat weten we en dat begrijpen we, maar het is van groot belang. Ja, als ik met mensen praat over de lumbaalpunctie, zeg ik altijd dat je het niet voor je plezier doet, het is geen picknick zeg maar, om de LP te doen, dus het is aan iedereen om te beslissen of ze wel of niet deelnemen. Ik denk dat de ervaring heel verschillend is voor mensen. Sommige mensen hebben er geen probleem mee, sommige mensen hebben achteraf wat hoofdpijn en sommige mensen zeggen ik doe het nooit meer. Dat wil ik eerlijk gezegd hebben. Maar ik zeg ook altijd dat het veilig moet zijn, anders zouden jullie het niet mogen doen, en het moet heel belangrijk zijn, anders mogen ze het niet doen, klopt dat? Dat klopt helemaal. Oke, alleen voor ons Nederlandse publiek, als je deelneemt aan AURORA en je vraagt je af of je ook mee kunt doen aan TRACK.. Het onderzoeksteam in Leiden werkt aan het selecteren van de mensen uit AURORA die ook in aanmerking komen voor TRACK DCAA en als jij daar één van bent, wordt er contact met je opgenomen.

Ja, oke. Goed, oke.

Ik ga naar Dini uit Australië, die uit een Australische familie met Dutch CAA komt. Ze gaat ons wat vertellen over waarom ze deelname aan onderzoek belangrijk vindt, dus Dini, aan jou het woord. Hallo, als een familielid met HCHWA-D in de familie, zou ik eigenlijk alle mensen die in aanmerking komen om deel te nemen aan de studie, willen aanmoedigen om dat te doen. Vandaag hebben we gehoord over de ontwikkeling van de diagnose tot de belangrijke ontwikkelingen in het onderzoek. Ik denk dat het veelbelovend is. Naar mijn mening denk ik dat we bevoorrecht zijn. Ik weet dat HCHW-d of CAA of hoe het je het ook wilt noemen, niet fijn is, maar het is een voorrecht om in een positie te zijn waarin we zoveel aan anderen te geven hebben. Nu, om te beginnen, weet ik hoe belangrijk het is voor onze familie en voor onszelf. Ik denk dat dat in onze gedachten voorop staat. Maar daar bovenop, daarnaast, op grotere schaal, kunnen wereldwijd mensen profiteren van de informatie die wij te delen hebben. Dus het is eigenlijk echt, echt een spannende tijd, in die zin. Het spijt me, mijn internet is onstabiel. Dit is eigenlijk echt een opwindende tijd, omdat het huidige onderzoek zich richt op HCHWA-D, echt gericht is op wat in onze familie voorkomt. En het geweldige is dat, alhoewel onze familie zo klein is, maar toch zijn we echt erg belangrijk.

Dus.... we hebben een kans om een oplossing te vinden. Misschien niet onmiddellijk, maar ergens in de toekomst kan er een oplossing voor ons zijn. En het is met dat in gedachten, we maken deel uit van een groter geheel, ja, het zit mijn ons in de familie, dat is waar, maar we zijn ook onderdeel van de mensheid. En vanuit ons mens zijn is het geweldig wat we nu aan andere mensen geven. Dat is de reden waarom, in het bijzonder voor mensen in West Australië, die uitgenodigd zijn om deel te nemen... Ik weet, je moet iets opofferen om deel te nemen, het vraagt een confrontatie met de ziekte, je moet het onder ogen zien.. wanneer je naar het ziekenhuis gaat voor de testen. Maar Maar tegelijkertijd ben je onderdeel van iets wat werkt en dat tot grote dingen kan leiden. Dus, iedereen die is uitgenodigd om deel te nemen, denk daar alsjeblieft over na. Het belooft geen direct resultaat, het is een lange termijn doel. Maar er is hoop voor ons en het is een fantastische kans.

En dat is waarom ik ook wil benadrukken dat het niet alleen voor mijn generatie is. Ik denk dat de meeste mensen, die in de huidige studie deelnemen, dat zij van mijn generatie, mijn leeftijd, zijn. Maar, weet je, de jongere generatie, ze zijn nu oud genoeg en kunnen hun verantwoordelijkheid nemen. Ze zijn oud genoeg om dit serieus te nemen en de oproep serieus te nemen. Denk er goed over na. Als je mee kunt doen, kom aan boord, maar zelfs als dat voor jou niet geldt, moedig dan anderen aan en sta ze bij. Omdat er momenten zijn dat het behoorlijk moeilijk is om de gevolgen van HCHWA-D onder ogen te zien, maar we tegelijkertijd niet alleen zijn. We zijn samen en het is een goed, dat we samen zijn. We dachten dat het iets van onze familie was, maar het is grappig hoe onze grote familie door HCHWA-D een nog grotere familie is geworden. Dus als je onze oproep hebt gehoord, denk er alsjeblieft serieus over na. Bedankt.

Mag ik een snelle opmerking maken, Sanne? Jep. Dank je, dat was geweldig. Weet je, het komt écht door één persoon die er toe geleid heeft dat we hier zijn vandaag en dat ben jij. Weet je, jij hebt ons hiervoor geïnteresseerd en we zijn toegewijd aan jou. Ik wil zeggen dat mijn team en ik toegewijd zijn aan jou en de families in West Australië, en we hebben jullie deelname nodig, omdat we anders onze doelen niet kunnen bereiken. Je hebt het zo goed gezegd: je geeft hiermee niet alleen aan anderen, maar je doet het ook voor je eigen familie. Jullie krijgen alle ondersteuning die we hier W.A. aan jullie kunnen bieden, zoals ik al zei, zelfs vanuit het klinische perspectief. Dus alsjeblieft, meld je aan, want we willen de studie zo snel mogelijk op gang brengen. En nogmaals, Dini, je bent echt een geweldige voorvechter.

Ja, bedankt Dini, dat was zó mooi. Bedankt voor het feit dat je hier vandaag bij ons bent om dit met ons te delen.

Ik denk dat dat ons direct naar de vragen leidt, want zoals Dini zei, we roepen jongere generaties op om deel te nemen aan de studie. Ik vroeg me af of Marieke of Hamid ons de inclusiecriteria voor het onderzoek kunnen, zodat iedereen begrijpt wat die zijn.

Ik weet niet, Hamid, wil jij daar iets over zeggen, of...? Nee, ga jij maar, Marieke. Nou, de leeftijdsgrenzen die ik al noemde zijn 25 tot 60 en de volgende is dat je ofwel moet weten dat je gendrager bent, of dat één van je eerstegraadsfamilieleden dat is. En verder is het ook belangrijk dat alleen mensen die maximaal één symptomatische hersenbloeding hebben gehad mogen meedoen. Dat betekent dat het geen probleem is, wanneer wij een MRI maken en daarop bij jou meerdere microbloedingen te zien zijn en jij daar nog nooit iets van gemerkt hebt. Maar als jij meerdere keren in het ziekenhuis opgenomen bent geweest, vanwege bloedingen, dan kun je niet meedoen. Dus we hebben de regel dat één symptomatische bloeding met duidelijke klinische symptomen belangrijk is, en microbloedingen niet, in ieder geval niet voor de inclusiecriteria. Aan de andere kant zijn er ook redenen waarom je niet mee kunt doen, bijvoorbeeld, we maken een MRI scan. Ik zei al, ijzeren apparaten, de scan is automatisch, dus dat is belangrijk om rekening mee te houden. Sommige mensen zijn claustrofobisch, bang voor kleine ruimten, dat is een contra-indicatie voor de MRI. En verder voor de PET-scan, als je bijvoorbeeld zwanger bent of borstvoeding geeft, dat is een exclusie criterium voor de PET-scan. Ik denk dat dat de belangrijkste zijn. En je hoeft dus niet te weten of je gendrager bent, dus als je bijvoorbeeld één ouder met DCAA hebt en je wilt meedoen, dan kan dat zonder te weten of je zelf gendrager bent. Als blijkt dat je geen gendrager bent, dan kom je in de controlegroep, dat is ook erg belangrijk voor het onderzoek. Maar je komt daar dus niet zelf achter. Ik weet niet zeker hoe dat in Australië geregeld is, maar in Nederland ga je naar de poli klinische

genetica, als je dat wilt weten. Dat staat los van het onderzoek. Dat gebeurt dus echt in de klinische setting, waar we de test doen, en je alle informatie kunt krijgen over de pro's en cons van een genetisch onderzoek. Dus, je kunt meedoen als je niet wilt weten of je gendrager bent, of de resultaten van de MRI niet wilt weten, dan is dat allemaal mogelijk en geen probleem. Ja, ja, dank je. Het is een vraag die ik krijg van mensen: "als ik wil weten of ik gendrager ben, kan ik dat resultaat dan krijgen via het onderzoek, als ik meedoe aan TRACK DCAA?" En het antwoord is: nee. Je moet daarvoor een proces doorlopen en er is een reden dat dat proces er is. Als je het wilt weten, dan is dat in de klinische setting, in ieder geval hier in Leiden, waarbij je alle informatie krijg en je de beslissing kunt nemen samen met de klinisch geneticus. Ja, precies.

Ja, misschien is het anders in Perth? Het is bijna hetzelfde als wat er in Leiden gebeurt. We mogen zelf de resultaten van de genetische test niet bekend maken, maar we hebben een proces waarbij de deelnemers naar een geneticus gaan die alle voor- en nadelen van het weten van je genetische status met je doorneemt. En zij kunnen dan een bloedtest doen en ze krijgen dan die informatie als ze dat willen. Hamid, als je bij ons wilt blijven, ik heb nog een vraag aan jou. Iemand vraagt: ik doe al mee aan DIAN, kunnen die resultaten meegenomen worden het nieuwe onderzoek? We beginnen een hele nieuwe studie met TRACK DCAA, het is een nieuwe studie, met andere inclusie- en exclusie criteria die specifieke zijn voor dit onderzoek en anders zijn dan in DIAN. Sommige van die inclusie- en exclusiecriteria, in ieder geval, en daarom kunnen we die informatie niet overdragen. Maar de gegevens die we hebben verzameld in DIAN hebben ons geholpen om tot deze fase te komen en zijn dus erg informatief geweest, erg nuttig voor ons geweest. Maar we zullen niet dezelfde gegevens overdragen of gebruiken voor dit onderzoek. Lichten jullie nu de deelnemers die meededen aan DIAN, op individueel niveau in of zij kunnen deelnemen aan TRACK? Daar zijn we mee bezig, ja. Ok, dus dan kunnen ze ervan uitgaan dat wanneer er nog geen contact met hen opgenomen is, dat ze dat binnenkort kunnen verwachten? Ja. Oke, oke, goed. Uhm, even kijken, we hebben het over de inclusiecriteria gehad. Iemand vroeg of je kunt deelnemen als één van je grootouders gendrager is, maar je niet weet of je vader of moeder dat ook is. Wie wil daar antwoord op geven? Zal ik deze aan Marieke geven? Je moet... Je kan niet deelnemen als je niet wilt weten of je gendrager bent, want dan is er een tweedegraadsfamilielid gendrager. Dus dan kun je alleen meedoen als je wilt weten of je gendrager bent, want er kunnen alleen mensen meedoen die een eerstegraadsfamilielid familielid hebben en hun mutatiestatus niet willen weten. Want dan is er een 50% kans en voor een tweedegraadsfamilielid natuurlijk minder. Dus het is nog steeds mogelijk, maar dan verplicht je jezelf om je mutatiestatus uit te vinden, omdat we zoveel mogelijk mensen in de studie willen hebben die gendrager zijn.

Ja, precies. En dat is om dat je zoveel mogelijk mensen wilt laten meedoen die gendrager zijn. Ja, precies. Natuurlijk is het geen probleem om mensen in de controlegroep te hebben, maar als er te veel zijn, leren we niet genoeg over gendragers, dus dat is de reden. Ja, precies. En als je 50% kans hebt, en je mee doet, en je eigen genetische status niet wilt weten, maar je geen gendrager blijkt te zijn, dan kom je in de controlegroep. En die informatie is net zo belangrijk als... Ja.. Ok, bedankt.

Ik zie een vraag over... Kevin deelde iets met ons.. Hij zei: voor de families in W.A. zal TRACK DCAA worden gedaan in de Australische Alzheimer's Research Foundation kliniek, op de QEII campus en voor degenen die gevestigd zijn in Albany, weten we dat het nogal een reis is. Maar net als voor DIAN, worden voor de deelnemers van TRACK DCAA accommodatie- en reiskosten gemaakt voor de tijd die doorgebracht wordt in Perth gedekt worden, dus er wordt geen financiële last op de schouders van de deelnemers gelegd. Ik denk dat het voor de Nederlandse deelnemers belangrijk is om te weten dat Albany ongeveer zes uur rijden is van Perth, dus wij hoeven alleen maar naar Leiden, dat kost ons ongeveer 15 minuten, en zij moeten naar Perth, wat ongeveer zes uur is. Dus ik denk dat zij iets meer obstakels te overwinnen hebben om deel te nemen, dan wij, zeg maar.

Eens kijken, ik denk dat ik nog een andere vraag heb.. Ik weet niet of ik gendrager ben van DCAA, maar ik ben 54, dus ik gok dat als ik gendrager ben dat ik een paar bloedingen heb gehad. Betekent dat, dat ik geen deel kan uitmaken van de studie en als ik geen deel kan nemen, betekent dat dat ik afgewezen wordt als deelnemer voor de studie? Dus, ze is 54, ze weet niet of ze gendrager is, en ze vraagt zich of dat, als dat betekent dat ze een paar microbloedingen heeft gehad, wat dat dan betekent voor haar deelname aan TRACK?

Ik ga naar Marieke, denk ik? Dit heb ik denk misschien al beantwoord. Het is geen probleem als je a-symptomatische bloedingen op je scan hebt, maar als je een grotere bloedingen hebt gehad met symptomen, en meer dan één, dan kun je niet meedoen. En als je niet weet of je gendrager bent, dan is dat geen probleem, als je maar een eerstegraadsfamilielid hebt met de ziekte. Precies, ja.

Ik zie een paar open vragen, Sanne, die ik misschien kan beantwoorden. Een vraag is of de TRACK studie ook een medicijnonderzoek is. Zoals ik al zei, noemen we dit onderzoek ook wel een 'trial run in' onderzoek. Tijdens het onderzoek in de huidige fase worden er geen medicamenteuze behandelingen gegeven, maar die zijn er wel direct aan gekoppeld. We geloven dat we heel hard onderweg zijn om een medicijnonderzoek mogelijk te maken. En dat is een volgende fase, waar we het over hebben. Er zijn veel verbanden. Bijvoorbeeld, zijn in principe veel van de procedures die we

gebruiken, hetzelfde als in medicijnonderzoek. Zoals ik al zei, zijn er veel manieren waarop mensen die nu deelnemen, bijdragen aan de resultaten van het medicijnonderzoek. Bijvoorbeeld, door ons te informeren over hoe de verschillende markers veranderen bij mensen die geen medicamenteuze behandeling krijgen, geeft ons inzicht om een zo efficiënt mogelijk onderzoek op te zetten. En ik moet zeggen, we leggen de nadruk op deelname is, omdat er mensen zijn.. Niemand in dit panel, maar er zijn een heleboel mensen genaamd 'statistici', die zeer scherpe hersenen en zeer scherp kunnen schrijven, die de getallen uitwerken die nodig zijn om te kunnen beoordelen of een behandeling een gunstig effect heeft. En het wordt echt gedreven door het aantal mensen die meedoen. Je moet je voorstellen dat als er één of twee mensen meedoen, we niet weten of een behandeling iets doet. Dus, alles wat we doen, draait erom ervoor te zorgen dat elke deelneming zo waardevol mogelijk is om dat antwoord te krijgen. Ik zag iemand anders met een gerelateerde vraag, die vroeg als we meedoen aan TRACK, maar na één of twee jaar moeten stoppen, vanwege een zwangerschap of andere uitsluitingscriteria, is één of twee keer meedoen dan zinloos? En het antwoord is, dat is zeker niet zinloos, elke deelnemer is zinvol en het is onze taak om ervoor te zorgen dat het stukje informatie dat mensen kunnen bijdragen door deel te nemen aan het onderzoek, waarde heeft. Dat het ons zal helpen om te komen waar we willen komen, het laten zien dat een behandeling effectief is. Bedankt, ik zie dat we nog maar weinig tijd hebben, dus als dat oke is, ga ik nog de vraag stellen, die voor iedereen denk ik het allerbelangrijkste is. En als we jouw vraag nog niet hebben beantwoord, gaan we ervoor zorgen dat dat we dat op een later moment doen. Hoe ver zijn qua tijd verwijderd van een medicijnonderzoek?

We kijken allemaal naar elkaar in dit panel, omdat niemand het antwoord daar op weet. Meestal hebben we last van te veel optimisme. Dat wanneer mijn ouders mij ergens heen reden en ik vroeg hoe ver het nog was, toen ik een kind was, dat ze dan altijd zeiden we zijn er bijna! En dat ik dan zei, dan moeten we er nu toch zijn? En dan zeiden ze altijd dat het nog vijf minuten was. Dat bleef dan een half uur, of een uur, zo doorgaan. Maar ik denk dat het realistisch is om te denken dat de behandelingsfase in de komende twee tot drie jaar kan beginnen. Ik denk dat dat realistisch is en het beste bewijs dat ik daarvoor heb is jullie te wijzen op de betrokkenheid van de farmaceutische bedrijven. Die, en dat kan ik niet genoeg benadrukken, dat ondanks alle negatieve associaties die mensen hebben met farmaceutische bedrijven, hun betrokkenheid betekent dat het vooruitzicht aan de horizon te zien is. En het is niet een of ander ver punt aan de horizon, het is het is heel erg iets binnen handbereik. Dus, wat we hopen en geloven, is dat dit echt de trial run-in studie is. Dat de informatie van deze studie direct zal bijdragen aan het bepalen of een behandeling werkt en dat we een proef zullen starten met één of meer kandidaat-behandelingen, die de sterkste behandelingen

zijn. Die worden geëvalueerd door de wetenschappers en de betrokken familievertegenwoordigers en die volgens ons de grootste kans hebben om de ziekte in zijn spoor te vertragen of te stoppen. En ik denk dat.. en ik hoop dat ik terugkijkend niet te optimistisch ben, maar ik denk dat dat een realistische mogelijkheid is. Dat we terugkijken, ik heb dit in deze groep onderling al eens gezegd en ik zal het hier nogmaals zeggen, dat we op dit moment kunnen terugkijken en zeggen dat dit het begin was om echt een verschil te maken in het leven van mensen die Dutchtype CAA hebben en mensen met elk type CAA. Dat we zullen terug kijken en zeggen dat dat het moment was waarop we onszelf echt in een positie brachten om het verschil te kunnen maken. Dus, het is nog steeds niet morgen, maar ik denk dat het dichterbij is dan het ooit is geweest en echt een realistische mogelijkheid. Jep. Ik ben het daarmee eens en ik kan jullie vertellen dat DIAN ook zo'n 12 jaar aan de gang was en het ons een vergelijkbaar tijdsbestek kostte om tot een medicijnonderzoek te komen. Dus die kans is heel erg groot.

Jep. Het is tijd voor ons om af te ronden , dus dat is wat we gaan doen. Ik wil iedereen bedanken voor vandaag, onze panelleden voor jullie informatie en natuurlijk voor hoe toegewijd jullie zijn aan het ons helpen bij het vinden van een behandeling. Hopelijk zal dit webinar sommige mensen motiveren om deel te nemen en jullie persoonlijk te ontmoeten wanneer ze deelnemen. Een aantal van jullie op zijn minst. Als je vraag nog niet door ons is beantwoord vanwege ons tijdsbestek, gaan we ervoor zorgen dat we het op een later moment beantwoorden, dus we komen terug op je vraag. Karen heeft heeft ze allemaal genoteerd, dus we zullen ervoor zorgen dat het werkt. Heel erg bedankt en tot later.

Bedankt, iedereen!