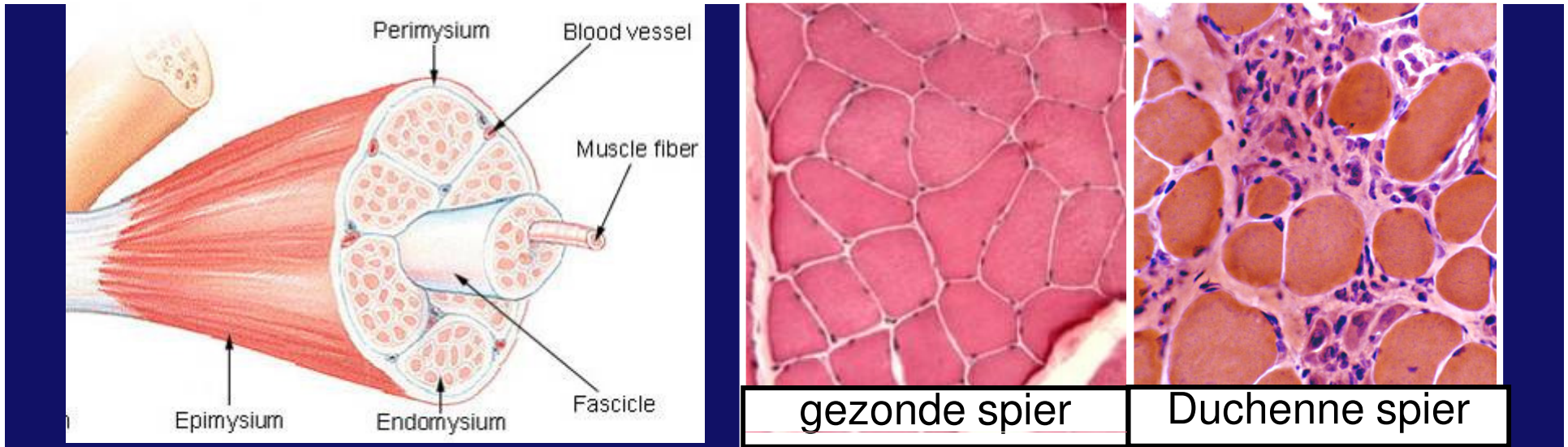


remming van Myostatine en TGF- β in Duchenne met behulp van exon skippen

Willem Hoogaars,
onderzoeker afdeling Humane Genetica LUMC, Leiden
Project loopt van november 2011-2013



gevolgen van dystrofine gen defect



beschadiging spiervezels



ontstekings reactie

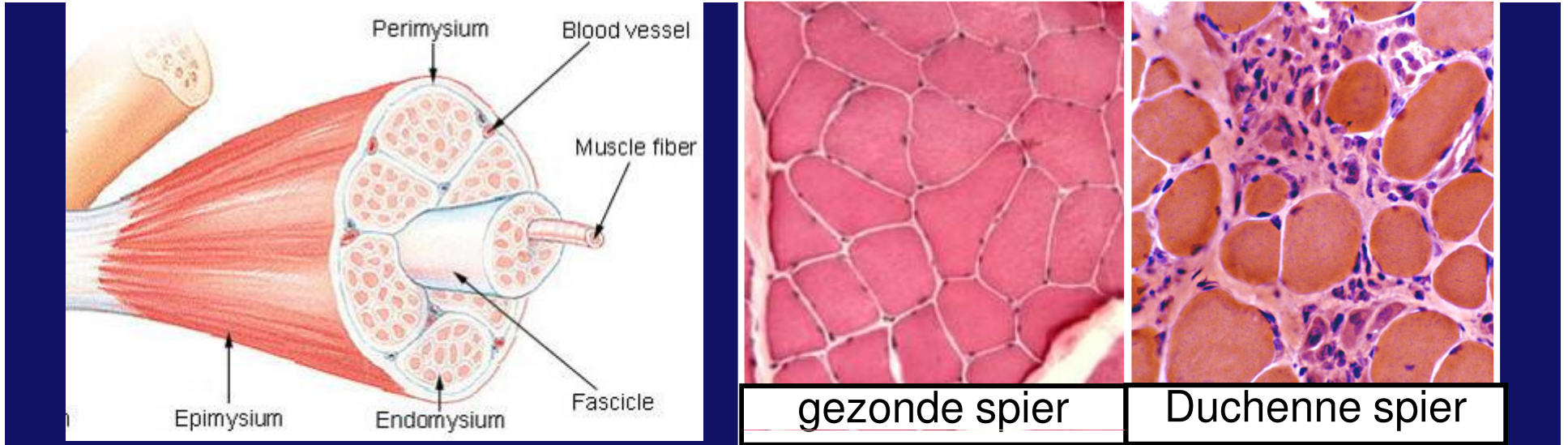


aanmaak litteken weefsel
& spiervezel afbraak



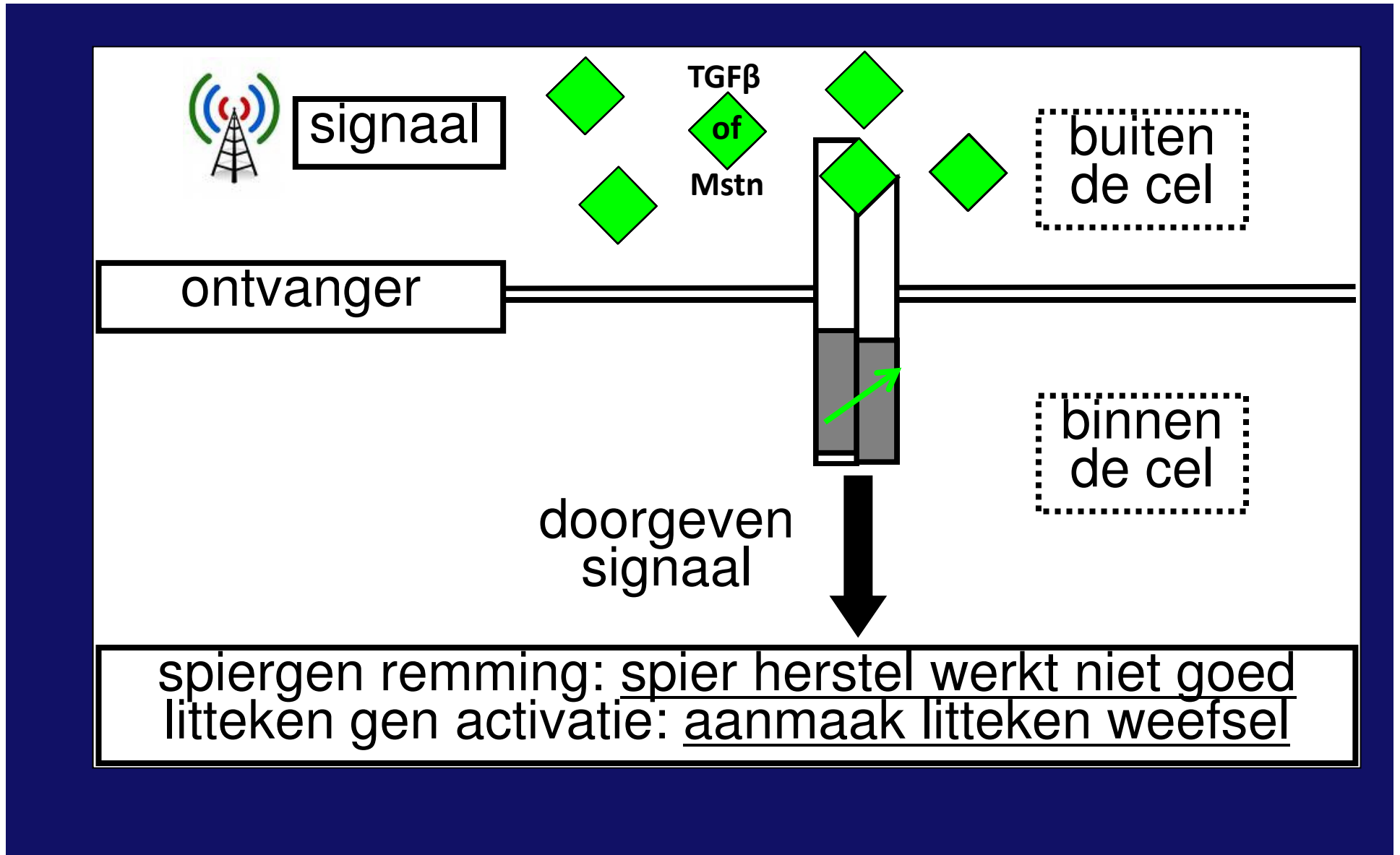
slechte spier reparatie

gevolgen van dystrofine gen defect

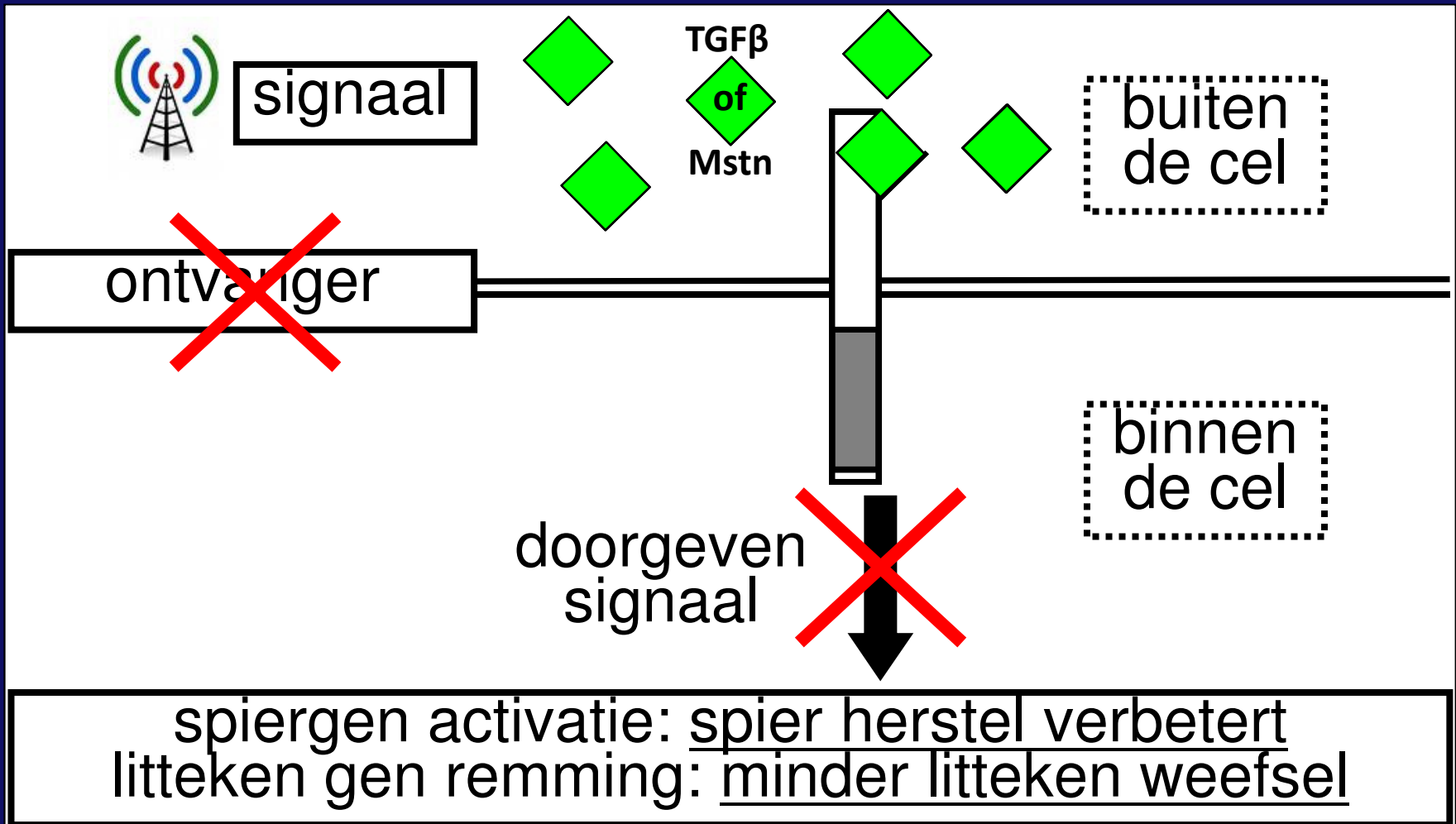


teveel Myostatine en TGF- β eiwit remt spier herstel
en stimuleert litteken vorming!

hoe werken Myostatine en TGF- β eiwitten?

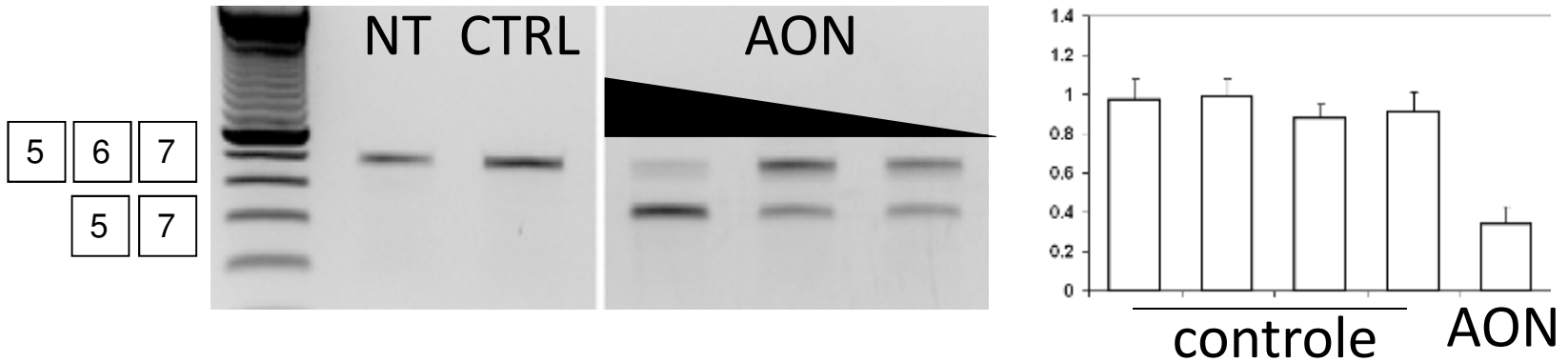


rem op activiteit Myostatine en TGF- β eiwit:
exon skippen ontvanger eiwit



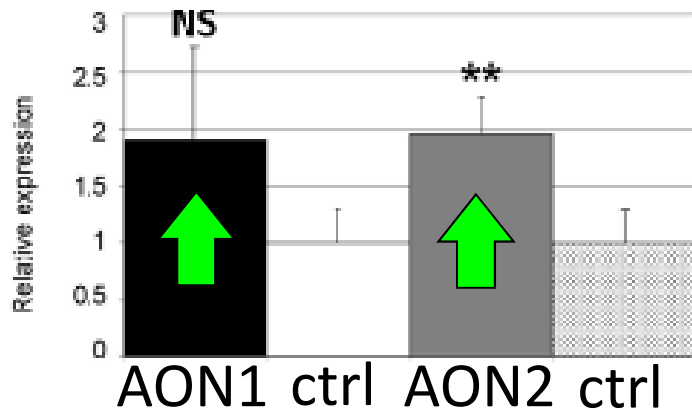
Voorlopige resultaten exon skip

in gekweekte spier cellen:

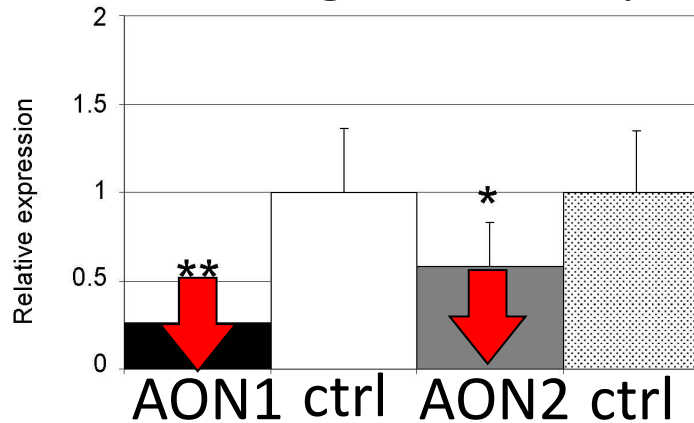


in Duchenne muis model:

spiergen transcript



littekengen transcript





vragen die we met dit project hopen te beantwoorden

Wat is het effect van langdurige behandeling?

Geschikt voor combinatie met dystrofine exonskip??

Toepasbaar in menselijke spiercellen???

de rest van de groep in Leiden



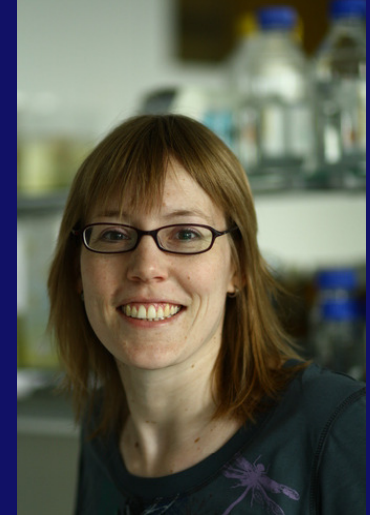
Annemieke
Aartsma-Rus



Peter Bram
't Hoen



Dwi
Kemaladewi



Sandra van
Heiningen