

## Intravacc en DZNE krijgen EU-financiering voor ontwikkeling vaccin tegen genetische ALS-variant

- Totaal bedrag van € 2,5 miljoen voor de ontwikkeling van een vaccin tegen amyotrofische laterale sclerose (ALS)
- ALS-vaccin richt zich op de meest voorkomende genetische ALS-variant
- 5-10% van alle ALS-gevallen wordt veroorzaakt door een mutatie in het C9orf72-gen

**Bilthoven, Nederland / München, Duitsland, 6 juli 2022** – [Intravacc](#), een mondiaal toonaangevende contractontwikkelings- en productieorganisatie (CDMO) van preventieve en therapeutische vaccins, en het [Duitse Centrum voor Neurodegeneratieve Ziekten](#) (DZNE), hebben van de Europese Unie een financiering van € 2,5 miljoen ontvangen (een zogeheten EIC Transition Grant) voor de verdere ontwikkeling van een prototype vaccin tegen amyotrofische laterale sclerose (ALS). Deze financiering stelt beide partijen in staat om het door DZNE ontdekte kandidaatvaccin, te brengen tot in de eerste klinische fase waarin het wordt getest op mensen. Het project omvat onder meer de ontwikkeling van het productieproces, de opschaling en een toxicologische studie.

ALS is een dodelijke neurodegeneratieve ziekte die wordt veroorzaakt doordat eiwitten zich ophopen in de motorneuronen van de hersenen en het ruggenmerg. Dit leidt eerst tot verlamming en uiteindelijk tot de dood. Sommige vormen van de ziekte worden veroorzaakt door genmutaties. De meest voorkomende genetische ALS-variant (ca. 5-10% van alle ALS-gevallen) wordt veroorzaakt door een mutatie in het C9orf72-gen. De onderzoeksgroep van Prof. Dr. Dieter Edbauer bij DZNE ontdekte dat deze mutatie leidt tot lange ketens van poly-Glycine-Alanine (poly-GA) moleculen die zich ophopen in de neuronen.

### **Experimenteel vaccin**

DZNE ontwikkelde een experimenteel vaccin dat het immuunsysteem leert om antilichamen aan te maken tegen deze schadelijke poly-GA-moleculen. In muizen vermindert dit de poly-GA-ophopingen en voorkomt het grotendeels de motorische stoornissen. Om voldoende antilichamen te behouden zijn regelmatige inentingen noodzakelijk.

Alleen al in de Verenigde Staten en Europa zijn meer dan 2.500 prevalentie gevallen van C9orf72 ALS gemeld. Naar schatting zijn er 9.000 dragers van het gemuteerde gen, die op dit moment geen symptomen vertonen, maar het risico lopen om binnen 10 jaar de ziekte te ontwikkelen. Beide groepen zouden baat kunnen hebben bij dit vaccin. Vergelijkbare vaccinconcepten zouden misschien ook patiënten kunnen helpen die een verwante aandoening, frontotemporale dementie, ontwikkelen.

### **Prof. Dr. Dieter Edbauer, groepsleider bij DZNE, zegt in reactie:**

*“Voordat we deze aanpak bij ALS-patiënten kunnen testen, moeten we ons vaccin van klinische kwaliteit kunnen produceren en verdere veiligheidsstudies doen. We zijn dankbaar dat de EU deze ontwikkeling ondersteunt met de EIC Transition Grant. We hopen dat met de hulp van Intravacc de resultaten van dit gezamenlijke project de brede toepassing van vaccins bij slopende neurodegeneratieve ziekten zullen bevorderen.”*



**Dr. Jan Groen, CEO van Intravacc, zegt:**

*“Er is grote behoefte aan effectieve therapieën voor de behandeling van ALS-patiënten. Het doel van ons huidige project is om het vaccin zo te ontwikkelen dat het op mensen kan worden getest. Klinische proeven voor C9orf72 ALS, de meest voorkomende genetische variant van ALS, zullen naar verwachting in 2025 van start gaan. Onze ervaring met het ontwikkelen van soortgelijke vaccins voor infectieziekten zal de preklinische ontwikkeling aanzienlijk versnellen en zo helpen om de allereerste klinische testen van het ALS vaccin van start te laten gaan. ”*

**Over ALS**

Amyotrofische laterale sclerose (ALS), de meest voorkomende motorneuronziekte, is een progressieve neurodegeneratieve ziekte van motorneuronen in de hersenen en het ruggenmerg. Dit resulteert in progressieve verlamming, en vervolgens doorgaans binnen 2 tot 5 jaar na diagnose tot overlijden. ALS komt meestal voor bij mensen tussen de 40-70 jaar oud, waarbij mannen iets vaker worden getroffen dan vrouwen. Tot op heden is ALS ongeneeslijk. De huidige therapieën kunnen alleen de symptomen verlichten, maar kunnen het verlies van neuronen en de progressie van de aandoening niet stoppen. Bij de meeste patiënten (85-90%) is de oorzaak van ALS onbekend. Deze situatie wordt "sporadische ALS" genoemd. 10-15% van de ALS-gevallen heeft genetische oorzaken. Genetische varianten van ALS die worden veroorzaakt door bekende mutaties, zoals de *C9orf72-repeatexpansie*, bieden een unieke kansen voor gerichte therapieën.

**=== EINDE PERSBERICHT ===**

**Over Intravacc BV**

Intravacc, gevestigd op Utrecht Science Park Bilthoven in Nederland, is een mondiaal toonaangevende contractontwikkelings- en productieorganisatie (CDMO) van innovatieve vaccins tegen infectieziekten. Als een gevestigde onafhankelijke CDMO met een uitstekende staat van dienst op het gebied van vaccinontwikkeling en vaccintechnologieën, heeft Intravacc zijn technologie met betrekking tot poliovaccins, mazelenvaccins, DPT-vaccins, Hib-vaccins en griepvaccins over de hele wereld overgedragen. Ongeveer 40% van de vaccins tegen kinderziekten zijn gebaseerd op de eigen technologie van Intravacc. Intravacc biedt een breed scala aan expertises voor de ontwikkeling van vaccins van concept tot fase I/II klinische studies voor partners over de hele wereld, waaronder universiteiten, volksgezondheidsorganisaties (WHO, Bill & Melinda Gates Foundation), biotech- en farmaceutische bedrijven. Ga voor meer informatie naar [www.intravacc.nl](http://www.intravacc.nl).

**Over Deutsches Zentrum für Neurodegenerative Erkrankungen, DZNE  
(Duits centrum voor neurodegeneratieve ziekten)**

De DZNE is een onderzoeksinstituut dat wordt gefinancierd door de Duitse federale en deelstaatregeringen en bestaat uit tien locaties over heel Duitsland. Het instituut richt zich op ziekten van de hersenen en het zenuwstelsel, zoals de ziekte van Alzheimer, Parkinson en ALS, die verband houden met dementie, bewegingsstoornissen en andere ernstige gezondheidsproblemen. Tot op heden zijn er geen remedies tegen deze ziekten, die zeer belastend zijn voor talloze getroffen patiënten, hun families en de gezondheidszorg. DZNE streeft naar de ontwikkeling een nieuwe aanpak voor de preventie, diagnose, zorg en behandeling en deze in de praktijk te brengen. Daartoe werkt DZNE samen met universiteiten, academische ziekenhuizen, onderzoekscentra en andere instellingen in binnen- en buitenland. Het instituut is lid van de Helmholtz-vereniging en behoort tot de Duitse centra voor gezondheidsonderzoek. Ga voor meer informatie naar [www.dzne.de/en](http://www.dzne.de/en)



### Contact informatie

#### Intravacc

Dr. Jan Groen, CEO

Telefoonnummer: +31 30 7920 454

Mirjam Hartman, Mediarelaties

Telefoonnummer: +31 6 115 969 94

E: [Mirjam.Hartman@intravacc.nl](mailto:Mirjam.Hartman@intravacc.nl)

#### DZNE

Prof. Dr. Dieter Edbauer

Telefoonnummer: +49 89 4400 46510

E: [dieter.edbauer@dzne.de](mailto:dieter.edbauer@dzne.de)

Dr. Marcus Neitzert, Mediarelaties

Telefoonnummer: +49 228 43302-267

E: [marcus.neitzert@dzne.de](mailto:marcus.neitzert@dzne.de)

#### LifeSpring Life Sciences Communicatie, Amsterdam

Leon Melens

Telefoonnummer: +31 6 538 16427

E: [lmelens@lifespring.nl](mailto:lmelens@lifespring.nl)