



PORTRET

In een moderne onderzoekskamer in het LUMC ontmoeten we Françoise Carlotti, universitair hoofddocent, hoofd van het Islet Research Lab en één van de hoofdonderzoekers van de RegMed XB Diabetes Moonshot. Ze deelt haar inspirerende verhaal dat begint met een diepgewortelde passie voor medische vooruitgang en een drang om de grenzen van de geneeskunde te verleggen.

Françoise legt allereerst in het kort uit waar ze aan werkt: "We proberen in het laboratorium, vanuit stamcellen, insuline producerende cellen te maken om ze uiteindelijk te kunnen transplanteren. Diabetespatiënten missen deze bètacellen. Ons doel is niets minder dan het vinden van een oplossing voor het genezen van Diabetes Type 1."

TRANSLATIONEEL ONDERZOEK MEDE MOGELIJK DOOR REGMED XB

Françoise benadrukt de cruciale rol van RegMed XB. Voordat financiële steun beschikbaar was, was ze al druk bezig met onderzoek naar bètacellen. "Door RegMed XB konden we ons onderzoek naar een hoger niveau tillen om daadwerkelijk van laboratorium-ontdekkingen naar klinische toepassingen te gaan" zegt ze met waardering voor deze ondersteuning.



DE DIABETES MOONSHOT: VIJF JAAR GELEDEN

Terugblikkend op de Diabetes Moonshot, een gezamenlijk project dat vijf jaar geleden begon, vertelt Françoise: "Toen we begonnen met het opbouwen van een volledig team, was het eerste grote obstakel om de juiste mensen te vinden met de benodigde expertise. Het kostte tijd om een heel erg goed team samen te stellen."

Ze vervolgt: "Het team dat werkt aan cel is hier in Leiden gevestigd, maar we werken nauw samen met Maastricht en ook met Utrecht en Eindhoven, waar iedereen zijn eigen expertise inbrengt binnen de RegMed XB Diabetes Moonshot."



Françoise vertelt bevolgen waarom ze de leiding heeft genomen in de Diabetes Moonshot: "Wat me drijft, is het innovatieve karakter van ons werk en mijn nieuwsgierigheid. We hebben ontdekt dat we slechts één type cel hoeven te vervangen om sneller klinische vooruitgang te boeken. Als een van de weinige laboratoria in Nederland met expertise in bètacellen, voelden we ons geroepen om deel te nemen. Ons team is een unieke combinatie van onderzoek en klinische ervaring. We hebben al jaren een klinisch programma lopen en hebben daardoor al grote stappen kunnen zetten."

Ze geeft een inkijkje in het onderzoek binnen de Diabetes Moonshot: "We zijn begonnen met het isoleren van eilandjes met daarin de bètacellen uit pancreas en hebben aangetoond dat bètacelvervanging werkt. Maar het gebrek aan geschikte donoren en de noodzaak van zware medicatie om afstoting te remmen beperkt ons tot het helpen van slechts enkele patiënten per jaar.

Nu, met de mogelijkheden van stamcellen, kunnen we dit programma uitbreiden en een groter aantal patiënten helpen. Stamcellen kunnen uitrijpen tot insulineproducerende cellen als ze de juiste signalen krijgen. En omdat stamcellen ook oneindig kunnen delen heb je in feite een onuitputtelijke bron van cellen."

Dit onderzoek en deze benadering biedt hoop voor de toekomst van diabetesbehandeling.

HET WAAROM EN DE MISSIE VAN FRANÇOISE CARLOTTI

De passie van Françoise voor biomedische wetenschappen vindt zijn oorsprong in haar familieachtergrond. "Ik kom uit een familie met veel medici: mijn ouders, mijn grootvader, en een van mijn broers. Ik hoorde hen vaak praten over het helpen van mensen. Van jongs af aan wist ik dat ik geen arts wilde worden. Ik was meer geïnteresseerd in de volgende stap, omdat ik hen te vaak hoorde praten over de beperkingen van de huidige medische behandelingen. Nieuwe therapieën zijn nodig, en daarom is biomedisch onderzoek belangrijk," zegt ze vastberaden.

Françoise deelt meer over haar drijfveren: "Gen- en celtherapie hebben me altijd gefascineerd, omdat ze helpen bij het herstellen van defecten in het lichaam. Maar het gaat verder dan dat. Het is de nieuwsgierigheid die me wetenschapper maakte, gevolgd door de intellectuele uitdaging. Het is voortdurend probleemoplossend werken, technische uitdagingen aangaan, controleren of hypothesen juist of onjuist zijn, en dan bedenken hoe we verder kunnen gaan."

Het is deze mix van nieuwsgierigheid, intellectuele uitdaging, praktische problemen oplossen en de kans om levens te verbeteren, die Françoise blijven inspireren. RegMed XB biedt haar de ideale omgeving om deze inspiratie om te zetten in concrete vooruitgang in de medische wetenschap.



UITDAGINGEN IN HET ONDERZOEKSVELD

Françoise wijst op de uitdagingen van haar onderzoek: "In onderzoek is een van de grootste uitdagingen dat het nooit snel genoeg gaat.

Binnen de geneesmiddelenindustrie zijn de regels al vastgesteld, en het pad is bekend. Binnen ons vakgebied van nieuwe celvervangingstherapieën vanuit stamcellen is alles nieuw, waardoor de regelgeving complex is en we ons eigen pad daarin moeten vinden.

Veiligheid staat altijd voorop, en het is opwindend om deel uit te maken van één van de weinige teams die hieraan werken. Maar het is ook uitdagend want er is geen bestaande routekaart, aangezien de regelgeving voor medicijnen niet geldt voor celvervangingstherapieën."

"Bovendien verschilt de regelgeving per land" legt Françoise uit. "Dat maakt het nog ingewikkelder. We proberen van elkaar te leren, maar omdat dit vakgebied zo nieuw is, is er nog geen consensus, zelfs niet binnen Europa, laat staan tussen de VS of Japan."

DE TOEKOMST VAN HET ONDERZOEK

Françoise blikt vooruit: "We hopen oprecht dat dit alles realiteit zal worden; dat we een grotere groep patiënten kunnen helpen met een steeds beter celproduct. Naarmate we meer te weten komen over de veiligheid, zullen we ook sneller vooruitgang kunnen boeken."

"Haar ogen stralen van passie terwijl ze verwoordt: "Onze droom is dat celvervangingstherapie, net zoals orgaantransplantaties op dit moment, een routinematige en meer gebruikelijke behandeling wordt. Het heeft het potentieel om een daadwerkelijke genezing te bieden. De volgende uitdaging is ervoor zorgen dat geen immuunsuppressie nodig is, wat momenteel onderzocht wordt."

Op de vraag wat er nodig is om vooruitgang te kunnen blijven boeken antwoordt ze: "Er zijn drie belangrijke elementen nodig. Ten eerste het delen van kennis in het veld; we kijken ook naar soortgelijke onderzoeken bij andere aandoeningen, zoals de ziekte van Parkinson of oogziekten, omdat ook bij deze aandoeningen maar één celtype vervangen moet worden. Leren van anderen is van onschatbare waarde, omdat we allemaal bijdragen aan deze enorme puzzel." Het ecosysteem van RegMed XB draagt bij aan deze kennisdeling.

Tot slot, geeft ze aan: "Voldoende financiële middelen zijn een andere essentiële factor, aangezien we geen commerciële industrie zijn, maar afhankelijk zijn van financiering. Dit kan afkomstig zijn van overheden in Nederland, de EU, of andere bronnen."

ROADMAP VOOR DE TOEKOMST

Françoise blikt vooruit naar de behandeling van patiënten: "We hopen patiënten zo snel mogelijk te kunnen behandelen," geeft ze aan "maar het is moeilijk te voorspellen. We bepalen niet het tempo geheel zelf met

onderzoekresultaten. Ook regelgevende instanties hebben een aanzienlijke invloed. Het kan jaren duren voordat een behandeling beschikbaar is."

Als de eerste klinische stappen succesvol zijn, kunnen we steeds meer patiënten behandelen. Het celproduct zal zich in de loop der tijd blijven ontwikkelen en hopelijk toegankelijk worden voor steeds meer mensen."

De RegMed XB Diabetes Moonshot heeft als doel nieuwe insuline producerende cellen voor mensen met diabetes type 1 te realiseren. Binnen deze moonshot wordt samengewerkt door gezondheidsfondsen, wetenschappers, bedrijven en overheden. Dit initiatief is gefinancierd door Stichting DON, Diabetes Fonds en Health~Holland.