

# Online Publieksavond Stofwisselingsziekten

## Onderzoek in beeld: Is gentherapie de oplossing?

Woensdag  
17 november 2021  
19.00-21.30 uur

Gratis online bijeenkomst

Informatie en inschrijven:  
[www.radboudumc.nl/  
publieksavond2021](http://www.radboudumc.nl/publieksavond2021)

Deadline: 10 november 2021



*Tijdens deze boeiende avond wordt u niet alleen bijgepraat over de ontwikkelingen rond gentherapie, maar praat u zelf ook mee. In een paneldiscussie praten we, aan de hand van stellingen, met elkaar. We richten ons daarbij op de algemene problematiek, omdat deze sterk vergelijkbaar is bij alle stofwisselingsziekten, waaronder galactosemie, Congenitale Defecten in de Glycosylering (CDG's), mitochondriële ziekten, glycogeen stapelingsziekten, enz.*

### Welkom & Voordrachten

*Wat is gentherapie? Wat kan er wel en wat kan er (nog) niet? In deze sessie geven we enige achtergrond over de verschillende vormen van gentherapie vanuit een wetenschappelijk perspectief en schetsen we ook verschillende kanten van het perspectief van de patiënt.*

- Welkomstwoord door Gerrit-Jan Mulder, moderator;
- Gentherapie een utopie? Voordracht door Rick Wansink, onderzoeker;
- Gentherapie - het leven beheersbaar? Voordracht door Boelo Boelens jr, patiënt;
- Vragen beantwoorden uit de chat.

### Bezoek de onderzoeker

*Om tot daadwerkelijke toepassing van gentherapie te komen zijn er veel stappen nodig in het onderzoek. In deze sessie geven we een indruk van welk soort onderzoek hiervoor uitgevoerd wordt in het Radboudumc.*

- Onderzoeker: Een breinmodel om mogelijkheden voor therapie te onderzoeken;
- Onderzoeker: Reparatie van een genetische verandering als vorm van therapie;
- Onderzoeker: Een moleculaire vingerafdruk in bloed om therapie te volgen;
- Onderzoeker: Hoe kan ik in een patiënt onderzoeken of een therapie werkt?;
- Vragen beantwoorden uit de chat.

### Interactieve paneldiscussie aan de hand van stellingen

*De nieuwigheid van gentherapie brengt veel vragen met zich mee. Aan de hand van een aantal stellingen zullen we tijdens een paneldiscussie een aantal van deze vragen met elkaar bespreken.*

- Dirk Lefeber, onderzoeker stofwisselingsziekten;
- Clara van Karnebeek, kinderarts stofwisselingsziekten;
- Rick Wansink, onderzoeker genetische therapie;
- Boelo Boelens jr, patiënt;
- Caroline van Essen, coördinator lotgenotencontact patiëntvereniging Volwassenen, Kinderen en Stofwisselingsziekten (VKS).

### Afsluiting