

Publiekssamenvatting Humane meetmodellen

Datum: 28.04.2022

Onderwerp: **PROPER THERAPY: PROof-of-concePt for a human hEaRt model to test patient-specific THERAPY-responsiveness.**

Consortiumleider/penvoerder: **Prof. Dr. Jolanda van der Velden**

Erfelijke hartspierziekten zoals hypertrofische cardiomyopathie (HCM) komen wereldwijd vaak voor. HCM is een heterogene aandoening: de ernst van de ziekte en de respons op medicijnen verschilt enorm tussen patiënten, zelfs tussen patiënten het zelfde genetische defect.

In dit project zullen we ernstige HCM-fenotypes nabootsen in vitro met behulp van stamceltechnologie om betere menselijke hartmodellen te maken. We zullen stamcelmodellen valideren door ze te vergelijken met patiëntmateriaal en patiëntgegevens. Ons model wordt blootgesteld aan verschillende metabole stressors en medicijnen om de effectiviteit van de stamcelmodellen te laten zien in patiënt-specifieke behandelstrategieën. Kunstmatige intelligentie wordt toegepast om een high-throughput systeem te bouwen waarin medicijnen gescreend kunnen worden.

Het valideren van deze menselijke hartmodellen is een essentiële eerste stap naar klinische toepassingen van stamceltechnologieën om behandelingen op maat te maken voor patiënten met een erfelijke hartziekte.

Trefwoorden: stamceltechnologie, in vitro, validatie, cardiomyopathie, precision medicine.