

Behandeling van Cardiomyopathie

Yigal M. Pinto, M.D. University of Amsterdam
The Netherlands





Let op!

- Naast werk als cardioloog en onderzoeker word ik ook betaald door
- ARMGO BV dat een geneesmiddel ontwikkelt voor een zeldzame hartziekte (CPVT) en
 - Phlox Therapeutics BV dat een geneesmiddel ontwikkelt voor een zeldzame hartziekte (Lamine DCM, RBM20 DCM en KCNQ1)



Conclusies: er komen hele nieuwe types geneesmiddel aan

- Gebruik van RNA techniek is door COVID vaccins versneld en zal binnenkort ook bij DCM getest worden
- Repareren van DNA fouten is mogelijk maar moeilijker om toe te passen in het hart



Hartfalen

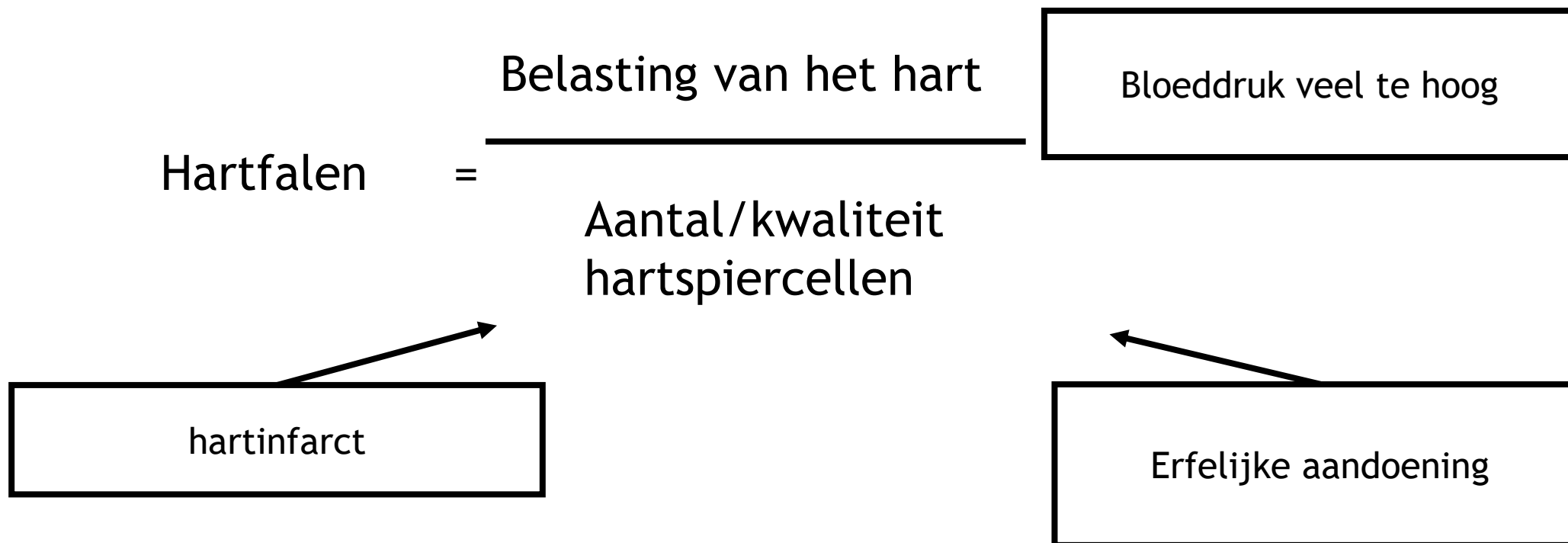
Hartfalen =

Belasting van het hart

Aantal/kwaliteit
hartspiercellen

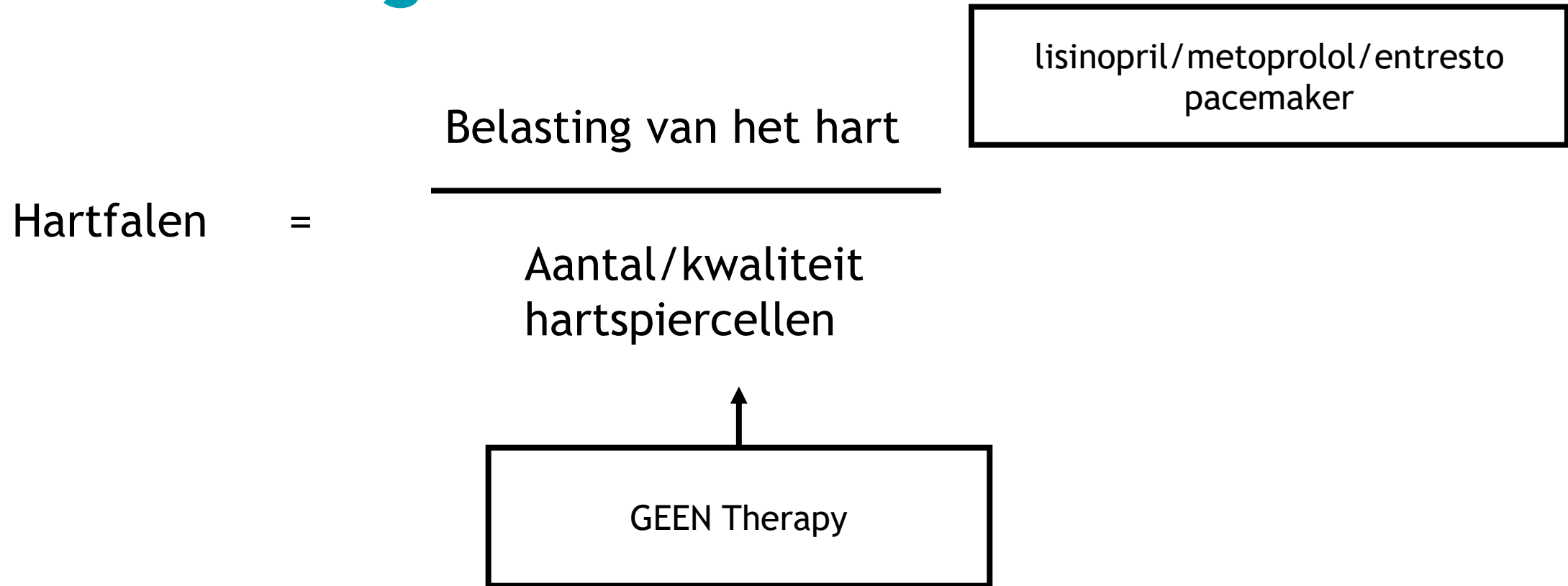


Verschillende oorzaken: zelfde effect





Behandeling NU





Wat is er veranderd in zoeken naar behandeling?

- Zien ' DCM' niet alleen maar als 1 enkele aandoening → per onderdeel aparte behandeling
- Genetica legt onderliggende oorzaak bloot
- RNA therapie is sneller te ontwikkelen, preciezer en is meer geaccepteerd

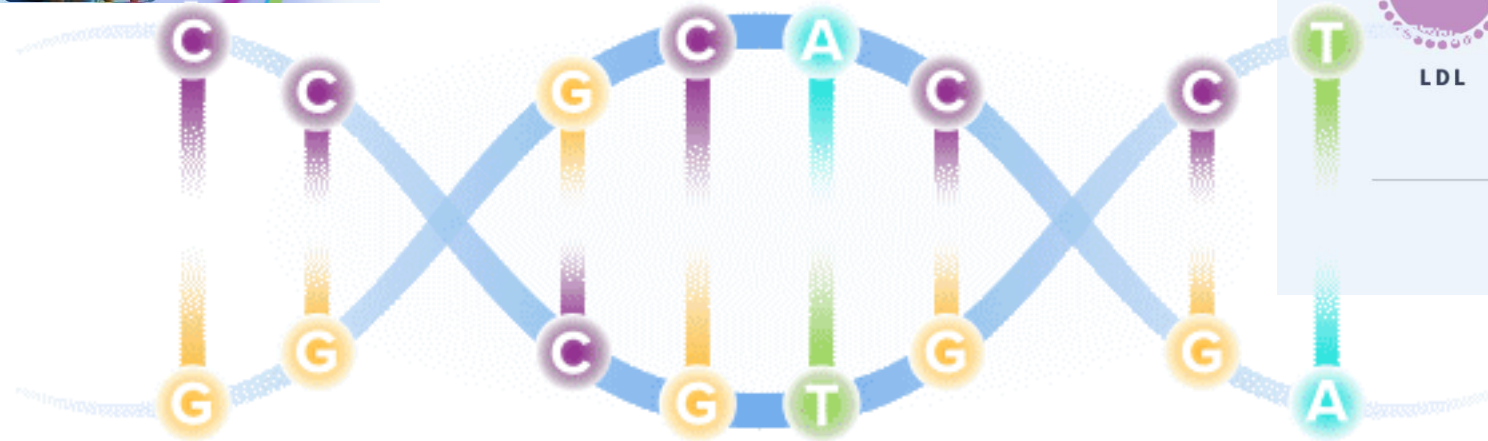


Verve Therapeutics: RNA geneesmiddel om erfelijke fouten te repareren in de lever

verve
THERAPEUTICS

ABOUT US | OUR SCIENCE | OUR PROGRAMS | CULTURE & CAREERS

We are on a mission to protect the world from **cardiovascular disease**



High Cumulative Life-long Exposure to Blood Cholesterol Clogs Heart Arteries

CHOLESTEROL CARRIED IN 3 LIPOPROTEINS:

- LDL
- TRL
- Lp(a)

CHOLESTEROL (purple) TRIGLYCERIDES (blue)



Tenaya Therapeutics: willen in 2024 testen bij patiënten met o.a. DCM

Program	Modality	Indication(s)	USA Prevalence	Discovery	Preclinical Development	Phase I	Phase II	Phase III
Advanced Pipeline (INDs 2022-2023)								
TN-301	Small Molecule	Heart Failure w/ Preserved Ejection Fraction (HFpEF)	> 3MM					
TN-201	AAV	MYBPC3+ Genetic Hypertrophic Cardiomyopathy (gHCM)	> 115K					
TN-401	AAV	PKP2+ Genetic Arrhythmogenic RV Cardiomyopathy (gARVC)	> 70K					
Earlier Pipeline (INDs 2024+) and Platform								
DWORF	AAV	Dilated Cardiomyopathy (DCM)	> 1MM					
		Heart Failure w/ Reduced Ejection Fraction (HFrEF)	~ 4MM					
Reprogramming	AAV	Heart Failure Due to Prior Myocardial Infarction (MI)	> 4MM					
Undisclosed Targets	AAV	Multiple Genetic and Non-Genetic Indications	Rare and Prevalent					
Platform Enhancements	Genetic Therapies	AAV Capsid Engineering						



Ontwikkelingen AUMC

- RNA om nadelen te neutralizeren van mutaties in Lamine, RBM20, KCNQ1 :
testen in proefdier
- Indien succesvol eerste testen bij patienten vanaf 2025/2026