

# WERVINGSPROCES GENTHERAPIE VOOR RAG1-SCID (RECOMB CONSORTIUM)



## RECOMB consortium

**RECOMB** is een onderzoek consortium, gestart in 2018, dat klinische experts en onderzoek professionals van 16 Europese en 1 Israëlisch instituut samenbrengt met ervaring in aangeboren immuniteitsaandoeningen, zoals ernstige gecombineerde immunodeficiëntie (SCID).

Het project wordt gefinancierd vanuit het Horizon 2020 programma van de Europese Unie.

## RECOMB klinische studie

FASE I/II

De baby met RAG1-SCID zal worden opgenomen in de gentherapie-eenheid van [insert hospital and/or department] om zijn behandeling te ontvangen, en hoeft dus niet naar het buitenland te reizen.

De studie bestaat uit de infusie van autologe CD34+ -cellen getransduceerd met het RAG1-lentivirus bij patiënten met SCID als gevolg van RAG1-deficiëntie. De studie heeft al twee patiënten opgenomen met een goede uitkomst nadat zij inmiddels maximaal twee jaar zijn opgevolgd.

## DOEL




Het bieden van een nieuwe therapeutische optie op basis van gentherapie aan pasgeborenen en baby's met een van de meest voorkomende vormen van SCID: RAG-1-deficiëntie

## CRITERIA

INCLUSIE	EXCLUSIE
Genetisch bevestigde RAG1-SCID	HLA-gematchte donor beschikbaar
Leeftijd jonger dan 2 jaar	Perifere T-cellen > 300/uL en/of naïeve T-cellen > 1/uL
Geen HLA-gematchte donor beschikbaar	Omenn syndroom
Perifere T-cellen < 300/uL en/of naïeve T-cellen < 1/uL.	Eerdere stamceltransplantatie
Geen Omenn-syndroom	Aanzienlijke orgaandisfunctie

## CONTACT

**RAG1 trial study team**  
**PROF. DR. A. C. LANKESTER**

-  rag1trial@lumc.nl
-  0031715262806
-  <http://www.recomb.eu/>

