



# Ethische aspecten van gentherapie

---

Lieke Baas, PhD-onderzoeker bio-ethiek

# Wat is ethiek?

---

- Systematische reflectie op verantwoord handelen
- Wat is goed? Wat is eerlijk? Wat moeten we doen?



Wat zijn belangrijke ethische aspecten van gentherapie voor hemofilie?

# Methode

---



Literatuurstudie



Interviews

# Onderzoek 1: Literatuurstudie

# Literatuuronderzoek

---

- Wat hebben andere onderzoekers al geschreven over dit onderwerp?
- Zoeken in zoekmachines
- Relevante tekst gebruiken

Fletcher *et al.*  
*Orphanet Journal of Rare Diseases* (2022) 17:155  
<https://doi.org/10.1186/s13023-022-02256-2>

Orphanet Journal of  
Rare Diseases

RESEARCH

Open Access

## The experiences of people with haemophilia and their families of gene therapy in a clinical trial setting: regaining control, the Exigency study



Simon Fletcher<sup>1\*</sup> , Kathryn Jenner<sup>2</sup> , Luke Pembroke<sup>2</sup> , Michael Holland<sup>2</sup>  and Kate Khair<sup>2</sup> 

# Thema's

---



VERWACHTINGEN  
VS. REALITEIT



PSYCHOSOCIALE  
IMPACT



KOSTEN EN  
TOEGANKELIJKHEID



# Thema: Verwachtingen vs. realiteit

---

- Hoge verwachtingen en eisen
- Effect neemt af na verloop van tijd
- Niet geschikt voor kinderen, mensen met remmers, mensen met leverschade
- Risico op bijwerkingen

# Thema: Psychosociale impact

---

- Niet kunnen wennen aan geen hemofilie-symptomen
- Angst en onrust door verminderende resultaten
- Minder solidariteit in wereldwijde hemofiliegemeenschap

# Thema: Kosten en toegankelijkheid

---

- Waarschijnlijk is genterapie kosteneffectief, maar dit blijft onzeker
- Hoge kosten zijn een risico voor het gezondheidssysteem
- Er zijn al veilige en effectieve behandelopties beschikbaar
- Door de kosten kan het verschil tussen rijke en arme landen groter worden

# Onderzoek 2: Interviews

## Deelnemers:

- Mensen met hemofilie A en B
- Ouders van kinderen met hemofilie A en B
- Deelnemers gentherapie trial
- Mensen die een levertransplantatie hebben gehad
- Artsen
- Verpleegkundigen
- Medewerker farmaceutisch bedrijf
- Regelgever

## Thema's

- Vrijheid en onafhankelijkheid
- Vertrouwen en altruïsme
- Voordelen t.o.v. bestaande behandeling

# Thema: Vrijheid en onafhankelijkheid

---

## Hoop op meer vrijheid via genterapie

Het is echt wel [lastig] soms weet je wel, het leven. Dan weer prikken, dan weer dit, dan weer dat. Er gaat echt wel veel tijd in zitten. En nu sinds die genterapie, nou het is gewoon een makkie, echt waar. Dus je hebt een beetje rust in je leven nu.

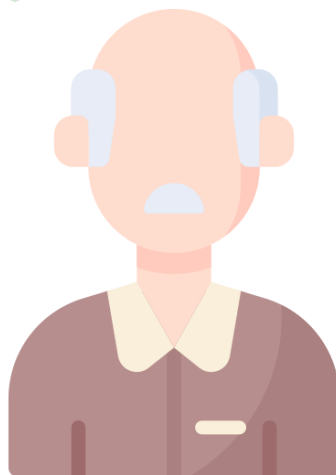


# Thema: Vrijheid en onafhankelijkheid

---

## Hoop op meer vrijheid via genterapie

Als je op reis gaat, dan moet je spul meenemen. En je moet, ja, je moet je voorbereiden en je bent niet vrij. Je bent nooit vrij. En dat is... Ik wil niet zeggen dat je gevangene bent, maar je bent wel gevangene van het systeem.



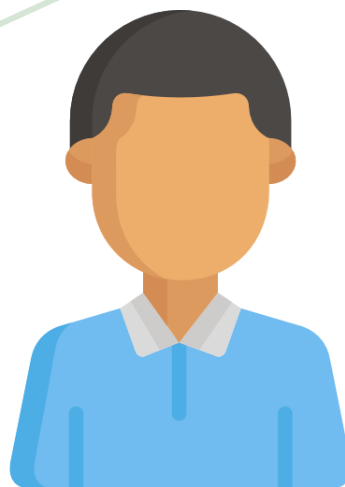


# Thema: Vrijheid en onafhankelijkheid

---

## Zorgen om haalbaarheid vrijheid

Het 'voordeel' dat ernstige hemofiliepatiënten hebben ten opzichte van milde hemofiliepatiënten is dat wij ons medicijn thuis op voorraad mogen hebben. Mensen met milde hemofilie mogen dat niet. Dat is wel een handicap.



# Thema: Vrijheid en onafhankelijkheid

---

## Zorgen om haalbaarheid vrijheid

Ze zijn hartstikke eigenwijs en ze denken dan: oh ja, ik heb nu gentherapie gehad, dus ik heb dit wondje, ik ga eens even wachten wat het doet, zeg maar. Of ze vallen en ze denken: ja, normaal gesproken zou ik spuiten, maar nu ga ik even kijken wat er gebeurt. En dan trekken ze later aan de bel



# Thema: Vertrouwen en altruïsme

---

## Vertrouwen in behandelaar en wetenschap

Een hemofiliepatiënt, juist omdat het een ziekte is van geboorte tot graf, heeft een hele belangrijke band met zijn hemofiliebehandelcentrum, zijn of haar hemofiliëdokter. Ja, en dat is echt wel een belangrijke arts-patiëntrelatie met heel veel vertrouwen.



# Thema: Vertrouwen en altruïsme

---

## Vertrouwen draagt bij aan altruïsme

En ik vind het wel heel belangrijk ook om mee te doen aan wetenschappelijk onderzoek, omdat je daarmee ook weer de toekomst verder brengt



# Thema: Voordelen t.o.v. bestaande behandeling

---

## Minder impact dan andere innovaties

Dus dankzij dat die stollingsconcentraten op de markt kwamen en dat ik kon beginnen met thuisbehandeling in eerste instantie met de hulp van mijn vrouw en later zelf. Dat heeft een veel grotere impact op mij gehad dan de genterapie.



# Thema: Voordelen t.o.v. bestaande behandeling

---

## Onrealistische verwachtingen

Wat mij het meeste is opgevallen is dat als je die mensen dan gaat benaderen voor studies, dan komt het vooral neer op temperen van verwachtingen.



# Conclusies

---

- Er is verschil tussen de beloftes/verwachtingen en de realiteit
- Dit vereist een andere manier van praten over genterapie
- Genterapie als één van de behandelingen die tijdelijk symptomen laat afnemen
- Wat is genezing?

# Conclusies

---

- Mensen met hemofilie willen meer autonomie
- Kan niet alleen bereikt worden via gentherapie
- Maar ook: manier van zorg inrichten