



**NIER
STICHTING**

Samen voor de nieuwe generatie nieren

Van 0 naar 25% genezing van nierziekten bij kinderen

Kidnie



Wat gaan we vandaag doen?

1. Wat is Kidnie?

- Fondsenwerving
- Het Kidnie Consortium
- Het Droomfonds project

2. Uitdagingen in gentherapieontwikkeling

3. Hoe gaan we dit voor elkaar krijgen?



1. Wat is K Fondsen

FONX

home topics ▼ over ons adverteren shop ▼



Van 0 na
kans op g



Kidnie pioniert: eerste goede doel met flexibel donateurschap

27-03-2025 (12:48) - marketing

Kidnie zet een frisse stap richting modern donateurschap. Als initiatief van de Nierstichting voor kinderen met een nierziekte lanceren Kidnie en Supporta een nieuwe tool. Met een persoonlijk dashboard krijg je als donateur de regie: bepaal wanneer en hoe je jouw bijdrage aanpast.

Kidnie Mate Club in

de tegenstander van



Nijmeegse 4-Daagse 2024 voor Kidnie

Emiel Bögels · Actie voor Kidnie



€ 500,00 opgehaald van € 500,00



€ 187,50 opgehaald van € 500,00

Maranatha Zomerfeest

Actie voor Kidnie



€ 835,20 opgehaald van € 250,00



€ 5.922,25 opgehaald van € 800,00

Sophie Westendorp · Actie voor Kidnie



€ 1.142,50 opgehaald van € 1.000,00

Dam tot Dam loop voor Kidnie

Gerard van Bennekom · Actie voor Kidnie



€ 2.637,00 opgehaald van € 3.000,00



Novan

ouders Novan · Actie voor Kidnie



€ 2.555,00 opgehaald

800
kinderen met
ernstige, chronische
nierschade

200
kinderen hebben
dialyse of transplantatie nodig
om in leven te blijven



In Nederland:

>4.000
kinderen met een
erfelijke of aangeboren
nierziekte

Dit zijn de cijfers

Kind met nierfalen.

De feiten



30x hogere kans
op vroegtijdig overlijden



Grotere kans op andere ziektes,
zoals hart- en vaatziekten en kanker



Levensverwachting met dialyse is
ca. 50 jaar korter
dan gezond kind



Meest voorkomende **doodsoorzaak**
is hart- en vaatziekten gevolgd
door infecties

Veel kinderen met
chronische nierschade krijgen
nierfalen voordat ze 20 jaar zijn



Vaak
streng dieet

Grote zorgen en
enorme impact
op het hele gezin



**Een kinderleven
met nierziekte**



Veel medicijnen;
soms wel 48 (!) pillen per dag of
vervelende injecties, óók 's nachts

Meer schoolverzuim
en geen energie
voor leuke activiteiten



40% van de kinderen
met nierfalen heeft een
verhoogde bloeddruk



Vertraagde ontwikkeling
en achterstand in
cognitieve functies



Vaker chronische
vermoeidheid = 24/7 moe,
vaak groeiachterstand en
metabole botziekten

Onze 1^e missie

Van 0 naar
25% genezing
in 10 jaar tijd

Kidnie

1. Wat is Kidnie? *Kidnie Consortium*

Krachtenbundeling

voor de nieuwe generatie
nieren



1. Wat is Kidnie? *Kindie Consortium*

Onze missie

25%

Van 0 naar 25%
genezing



Kindvriendelijkere
behandelingen, zoals
naaldvrije medicatie



Een donornier die een
leven lang meegaat



Vroege opsporing
om beter en sneller te
kunnen behandelen

Infrastructuur



Michiel Schreuder
Amalia Kinderziekenhuis



Elena Levchenko
Emma Kinderziekenhuis



Van commerciële motivatie
naar samenwerken voor impact



Van primair wetenschap bedrijven
naar echte oplossingen realiseren



Van competitiedynamiek
naar samenwerken en kennis delen



Van tijdslurpende aanvraagprocedures
naar alle tijd voor onderzoek

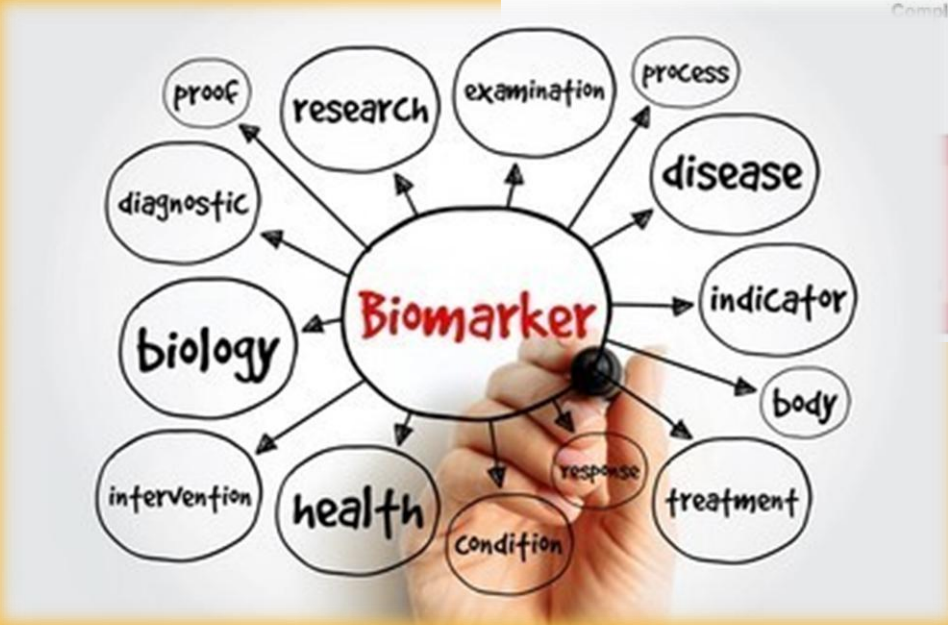
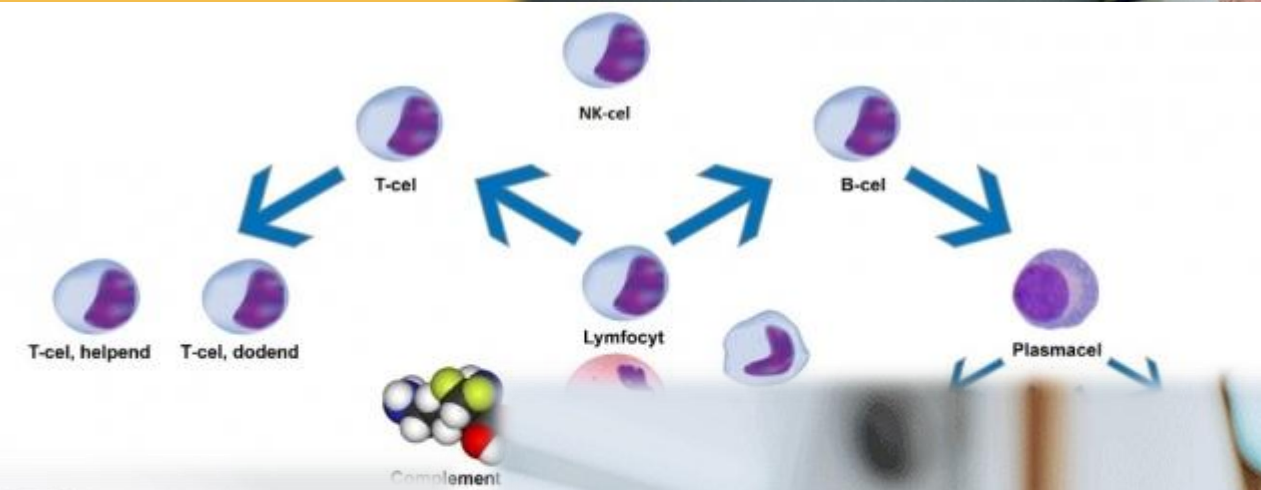


25%

Van 0 naar 25%
genezing



Stem cell





Healthy kidney

Ureteropelvic junction
obstruction

Renal hypoplasia



Megaureter



Multicystic dysplastic kidney



Posterior urethral valves



Kidnie

Vroege opsporing
om beter en sneller te
kunnen behand



Massa is Kassa



€ 300.000 per jaar Subsidie





1. Wat is Kidnie? *Droomfonds project*



We gaan
voor **gen-**
therapie

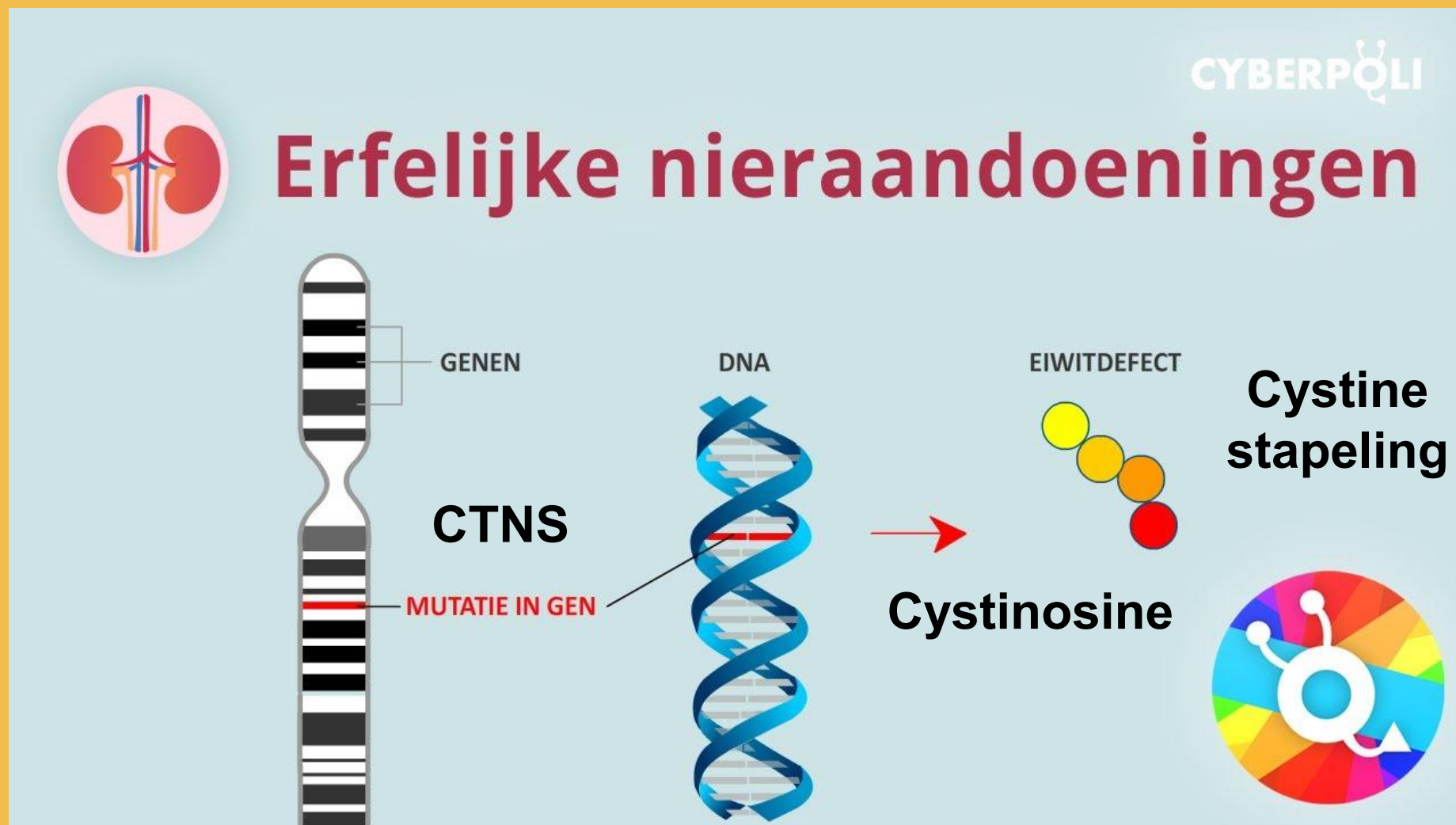
Als we cystinose genezen...

- ... sterft een kind niet meer voor zijn **50^e** levensjaar.
- ... hoeft een kind gedurende zijn leven geen **670.000** pillen meer te slikken.
- ... krijgen kinderen geen medicijnen meer waardoor je naar rotte eieren stinkt.
- ... wordt hen meer dan **6.000** pijnlijke groeihormoon-injecties bespaard.
- ... voorkomen we dat kinderen nog voor hun **18^e** levensjaar aan de dialyse moeten.
- ... helpen we de **60** Nederlandse patiënten van wie we nu weten dat ze deze ziekte hebben.
- ... besparen we ieder kind **1 tot 4** niertransplantaties.

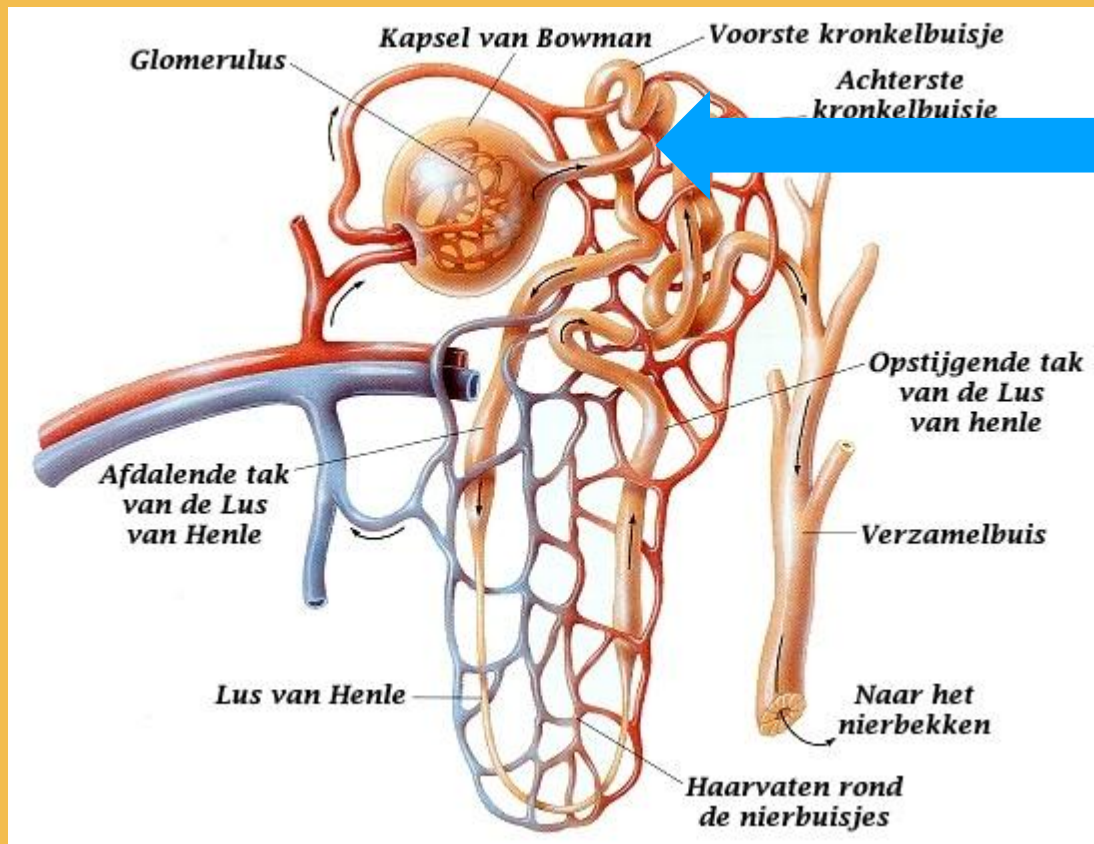


Bekijk hier de video over de impact van cystinose op een gezin.

Gendefect Cystinose



Uitdagingen in gentherapieontwikkeling



Hoe komen we op de juiste plek?

- In de juiste dosering?
- Met voldoende effect
- Met blijvend effect
- Zonder onbedoelde bijeffecten

2. Uitdagingen in gentherapieontwikkeling

Viral vectors in approved gene therapies



Adenovirus

- 36 kb genome size
- Non-integrating vector
- High immunogenicity
- Used in vaccines, oncolytic viral therapy, localized gene delivery



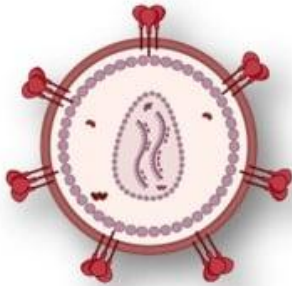
AAV

- 4.8 kb genome size
- Non-integrating vector
- Low immunogenicity
- Used in *in vivo* gene therapy
- Serotype varieties for tissue specificity



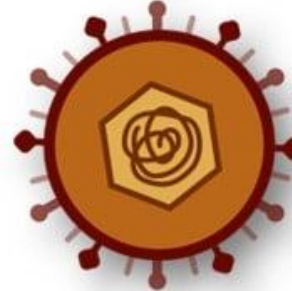
Retrovirus

- 8 kb genome size
- Integrating vector
- Risk for insertional mutagenesis
- Used in *ex vivo* cell-based gene therapies



Lentivirus

- 8 kb genome size
- Integrating vector
- Low immunogenicity
- Lower risk of mutagenesis
- Widely used in cell-based gene therapies



HSV

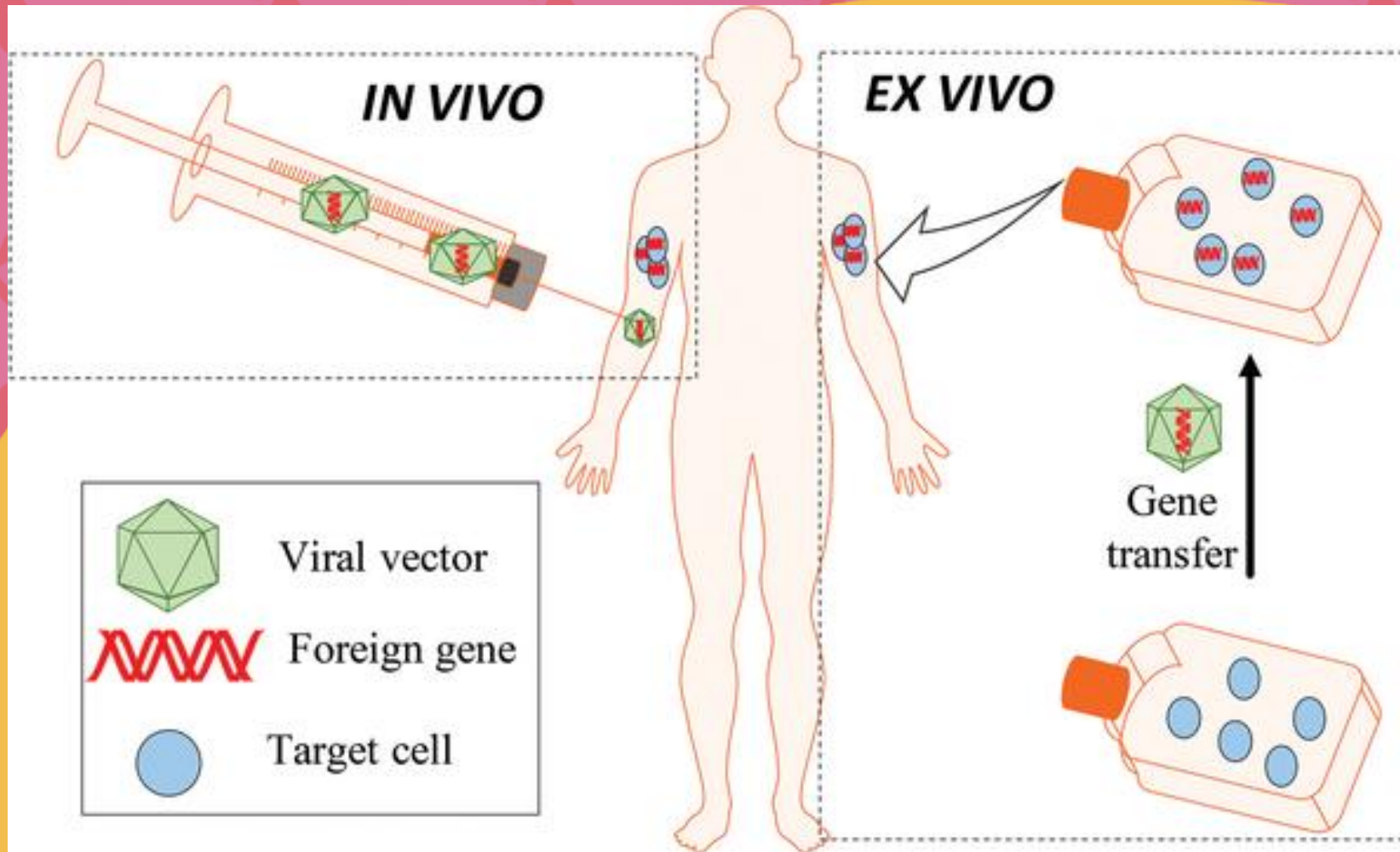
- 150 kb genome size
- Non-integrating vector
- Low immunogenicity
- Natural neuronal tropism

te plek?

effecten

n?

2. Uitdagingen in gentherapieontwikkeling



Locaal

Systemisch



Uitdaging Cystinose

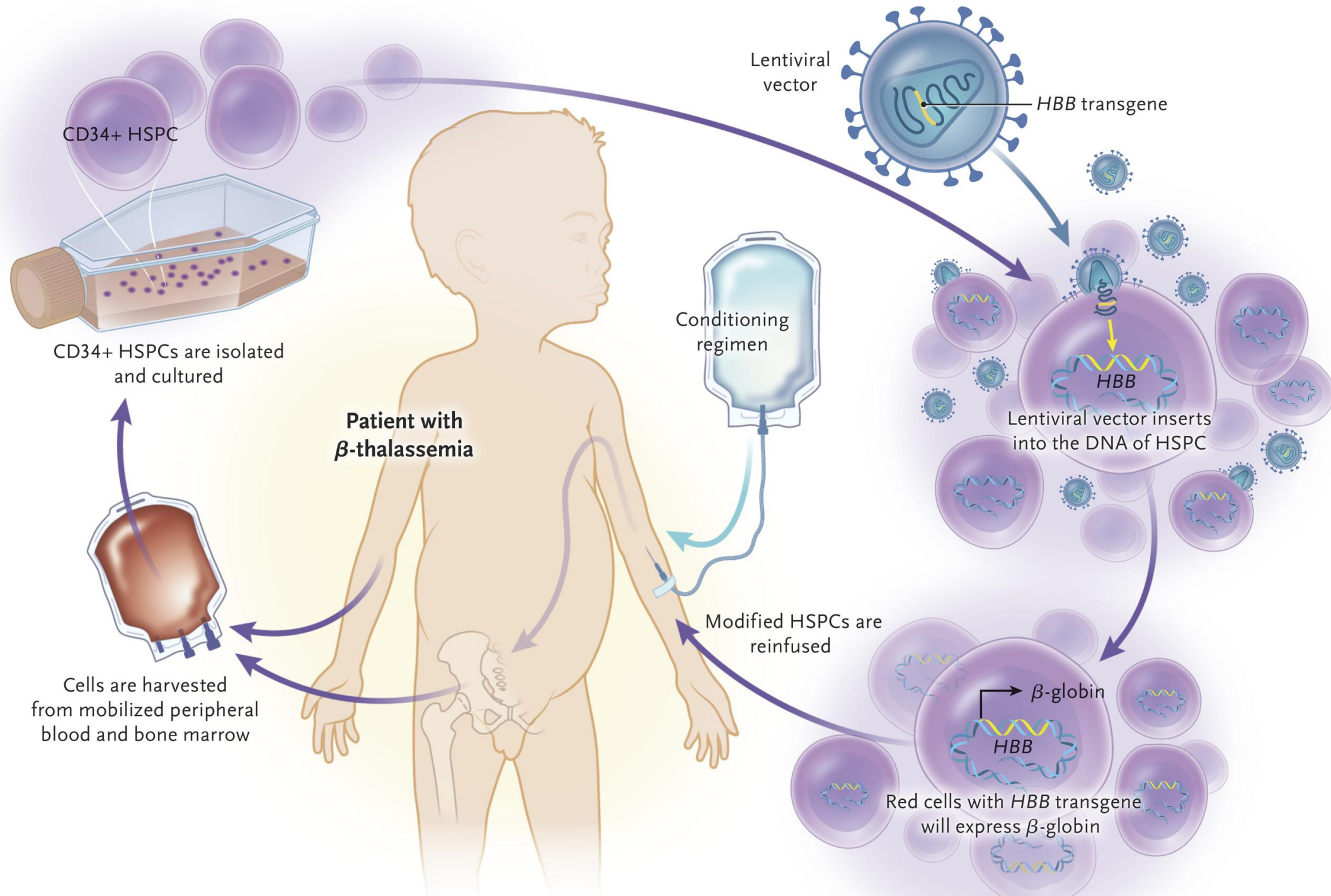
1. Komt in het hele lichaam voor
2. Nierprobleem in moeilijk bereikbare Proximale Tubulus
3. Hoge mate van celdeling
4. Nierschade treedt al op zeer jonge leeftijd op → heel jong behandelen

NOW OPEN:



Pha
Nep
Cell
Pati

For mor
WWW.





Waarom dan toch cystinose?

1. Novartis therapie nog niet bewezen in bescherming nier
2. Prof. dr. Elena Levtchenko
3. Veel modelsystemen om te testen
4. Als het lukt in de proximale tubuli een gen te repareren kunnen we ook Lowe, Dent en Cystinurie behandelen



3. Hoe gaan we dit voor elkaar krijgen?

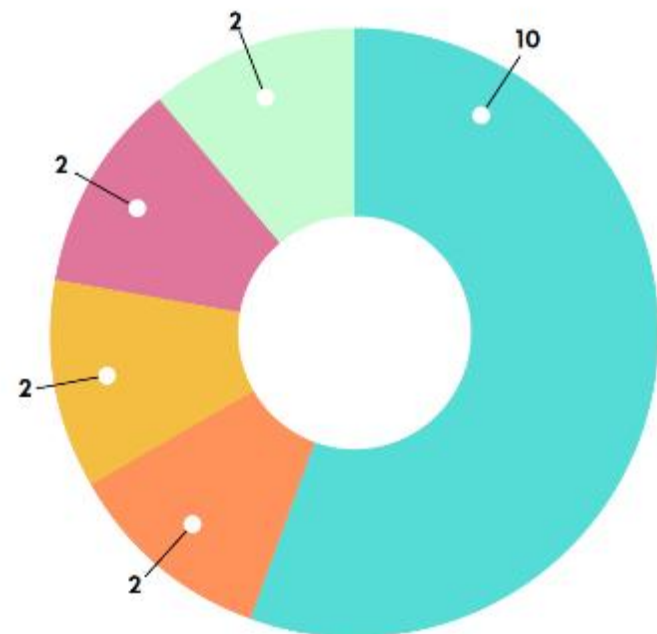


'Happy flow'

Onze onderzoekers baseren hun projectplannen op een zogenoemde 'happy flow': een ideaal scenario waarbij alles verloopt zoals gepland. Onze 'happy flow' voor het ontwikkelen van een gentherapie voor cystinose is opgedeeld in 8 fases. In dit schema zie je per fase de doorlooptijd, kosten, investeringen en resultaten.

Ontwikkelfases		Tijdspad	Financiering			Resultaten
			Droomfonds bijdrage	Co-financiering	Investering totaal	
1 →	Kandidaat genselectie	2 jaar	€ 2M	€ 0M	€ 2M	→ Gen geselecteerd
2 →	Ontwikkelen gen-reparatie					→ Gerepareerd gen
3 →	Gen-reparatie inbouwen in afleversysteem	3 jaar	€ 5M	€ 1M Overheidssubsidie Nierstichting bijdrage	€ 6M	→ Prototype gentherapie
4 →	Validatie					→ Werkende gentherapie
5 →	Productie klinische batch	2 jaar	€ 3M	€ 7M Impactinvesteers Nierstichting bijdrage Overheidssubsidie	€ 10 M	→ Klinisch toepasbare gentherapie
6 →	Goedkeuring 1 ^e klinische studie					→ Gentherapie die in patiënten getest mag worden
7 →	Klinische studies uitvoeren	2 jaar		€ 90M	€ 90 M	→ EU Toelating
8 →	Beschikbaar maken & inbedden in de zorg	2 jaar		N.t.b.	N.t.b.	→ Genezen kinderen

Verwachte verdeling financiering tot en met fase zes (Droomfondsproject).



Co-financiering Droomfondsproject

-  Droomfonds
-  Nierstichting
-  Impactinvesteerders
-  Ontwikkelpartner(s)
-  Onderzoekssubsidies overheid

Droomfondsproject Social enterprise

Dit figuur geeft weer in welke fase van de ontwikkeling de Social enterprise wordt opgericht en hoe de geldstroom loopt bij eventuele winst door commerciële partners.

