

Vraag	Antwoord	Scores
-------	----------	--------

Exon skip therapie bij Duchenne spierdystrofie

24	maximumscore 1 ademhalingsspieren/middenrifspieren/tussenribspieren	
25	C	
26	maximumscore 1 voorbeelden van een juist antwoord: – Een virus kan een gen specifiek naar bepaalde cellen brengen en dus heb je minder nodig van dat gen dan wanneer je het in liposomen verpakt die overal terechtkomen. – Het adenovirus kan het DMD-gen specifiek in spiervezels brengen, waar het voor herstel nodig is. – Met behulp van een virus kan het ingebrachte gen tot expressie komen in de gastheercel, bij liposomen is het maar de vraag of dat gebeurt.	
27	maximumscore 1 in de celkern	
28	maximumscore 3 • door deletie van exon 45 wordt het leesraam verstoord en wordt (veel) eerder / wordt in exon 46 een stopcodon gelezen • dit leidt (bij translatie) tot een korter dystrofine • zonder C-terminaal (en dystroglycaan bindend) domein, en dus niet functioneel	1 1 1
29	A	
30	maximumscore 1 voorbeelden van een juist antwoord: – Door injectie in de bloedbaan bereikt het DMD-gen (via bloedvaten) makkelijk alle spieren die aangetast zijn. – Anders zou je in alle spieren een aparte injectie moeten geven en dat is ondoenlijk. – Bij een plaatselijke injectie krijg je ook alleen een plaatselijk effect (een paar spieren genezen) en daarmee ben je niet echt geholpen.	
31	maximumscore 2 • als een van de eerste exonen wordt afgeplakt, leidt dit tot een mRNA zonder dit exon • als gevolg daarvan is er(na translatie van dat mRNA) geen passend/functioneel N-terminaal domein/deel/uiteinde om actine te binden	1 1