Neuigkeiten aus der Huntington-Forschung. In einfacher Sprache. Von Wissenschaftlern geschrieben Für die Huntington-Gemeinschaft weltweit.

HK Therapie-Konferenz 2013 Updates: Tag 2

Tag 2 unserer Berichterstattung von der Huntington Therapie-Konferenz

Von Dr Ed Wild am 27. April 2014
Bearbeitet von Dr Jeff Carroll; Übersetzt von Christiane Reick
Ursprünglich veröffentlicht am 10. April 2013

Der zweite tägliche Bericht von der Huntington Therapie-Konferenz in Venedig, Italien. Sie können an @HDBuzzFeed twittern, ein Kommentar auf Facebook schreiben oder HDBuzz.net benützten, um uns Fragen, Kommentare oder Rückfragen zu schicken

9:09 - Guten Morgen! Jeff und Ed werden Updates des zweiten Tages der Huntington Therapie-Konferenz posten.

9:14 - Eine Erinnerung für jeden, der es noch nicht mitbekommen hat: Es gibt 30 Millionen $ in der HK Medikamentenforschung, die letzte Wochen noch nicht vorhanden waren - Siehe unser Artikel über den Isis und Roche Deal von Gestern.

9:17 - Die erste Session ist über das Huntingtin Protein: Was ist es, was macht es und wie verursacht es Schaden?

9:26 - **Dr. Hilal Leshuel** vom EPFL, Frankreich kann auf eine coole Art Proteine in seinem Labor herstellen und dann mit Ihnen rumspielen und sie

Es gab über hundert Projekte, die am Mittwoch Nachmittag bei der

Poster Präsentation vorgestellt wurden

untersuchen. Er hat diese Techniken verwendet, um ein wichtiges Protein in der Parkinson Erkrankung, das Alpha-Synuklein, zu untersuchen. Er kann seine künstlich hergestellten Proteine künstlich markieren und schauen, wie Zellen unterschiedliche Markierungen unterschiedlich behandeln. Wenn man einen Anhänger namens Ubiquitin an da Alpha-Synuklein hängt, verhindert das das zusammenkleben in Klumpen (Huntingtin mach das auch). Durch das Verwenden dieser in der Parkinson Erkrankung entwickelten Techniken, kann sein Labor jetzt die chemischen Veränderungen des HK Proteins direkt untersuchen. **Lashuel** sagt, dass einfache chemische Veränderungen des normalen HK Proteins es dazu bringen können sich wie das mutierte Protein zu verhalten - in ‘Aggregaten’ zu verklumpen.

10:06 - **Gerardo Morfini**: Es gibt einen Verlust der ‘Weißen Substanz’ des Gehirns, bestehend aus Axonen, bei HK Patienten, was vermuten lässt, das es wichtig ist es zu verstehen. **Morfini** untersucht Axone von Tintenfischen! Sie sind groß und es ist viel einfacher mit ihnen zu arbeiten als mit menschlichen oder Mausaxonen. Er fand, dass mutiertes Huntingtin Stau in Axonen verursacht, was den Verkehr in Neuronen verlangsamt. Er sucht nach Medikamenten, die die Geschwindigkeit des Verkehrs in Axonen beschleunigt, die Effekte des mutierten Huntingtin bekämpft. **Morfini** möchte verstehen wie ‘Axone’ - das ist der lange Teil eines Neurons welcher Nachrichten von einem zum anderen Neuron überträgt - in der HK sterben.

10:39 - **James Surmeier** versucht zu verstehen, welche speziellen Gehirnzellen in der HK als erstes sterben - Was macht diese so anfällig? Er verwendet die aktuellsten Mikroskope und Techniken um einzelne Verbindungen - Synapsen - zwischen Neuronen in HK Mäusen zu untersuchen. Er sieht, dass die Kommunikation zwischen Gehirnzellen durch ein Medikament, dass bald in HK Patienten getestet wird, verbessert ist.

11:41 - **Philip Gregory** arbeitet mit Sangamo, einer Firma die Hilfsmittel herstellt, um die DNA von HK Patienten zu bearbeiten, um die Mutation zu entfernen. **Gregory** sagt, Sangamo versucht die Hilfsmittel zu verfeinern, damit Sie das mutierte HK Gen umschreiben können, während das normale Gen unberührt bleibt. Laut **Gregory** funktioniert das Umschrieben des mutierten Gens nicht nur in Zellen, sondern auch in den Gehirnen von lebenden Mäusen - Guten Nachrichten, dieses auch in Menschen zu tun.

12:10 - **David Corey** arbeitet an neuen Wegen, das mutierte HK Gen still zulegen. Er möchte Hilfsmittel finden, die den Level des mutierten HK Gens reduzieren, während das normale geschützt wird, da es wichtige Funktionen hat. Sein Team besitzt 3 Klassen an Chemikalien, die alle dasselbe machen - den Zellen helfen die Level an mutiertem HK Gen zu reduzieren.

14:56 - Wir befinden uns nun in der Poster Präsentation, wo über Hundert cooler HK Projekte präsentiert und diskutiert werden

16:18 - **Dr. Steve Goldman** von der Universität Rochester gibt eine grundsatzrede über neue Zellmodelle für das Verstehen der Huntington Erkrankung. Er erzählt uns, dass man bis vor kurzem dachte das Gehirn könne keine neuen Neurone bilden, jedoch kann es dies zu einem gewissen Teil (zumindest in Mäusen). Wir sind am Anfang zu verstehen, wie die Produktion dieser neuen Neurone durch das Gehirn angewiesen wird, sogar in HK Mäusen. In HK Mäusen, scheint es, dass Neue Neurone, die aus Stammzellen des Gehirns produziert

> ”Corey’s Team besitzt drei verschiedene chemische Klassen and Medikamenten, die alle dasselbe machen - Der Zelle helfen, die Level des mutierten HK Gens zu reduzieren“

werden, in der Lage sind verlorene Zellen zu einem gewissen Anteil zu ersetzen. **Goldman** behandelte HK Mäuse mit durch einen Virus vermittelten Anweisungen neue Neurone zu produzieren, die länger leben, als unbehandelte Mäuse (Die Arbeiten von Goldman werden bald in einem Journal, “Cell Stem Cell” veröffentlicht und wir werden definitiv einen HDBuzz Artikel darüber schreiben!). Gehirnzellen mit embryonalen Stammzellen zu ersetzen wurde bereits früher versucht, hat aber nicht gut funktioniert, vermutlich weil wir nicht wussten wie man sich um diese Zellen kümmert, sie wachsen zu Neuronen wachsen lässt und sie dazu bringt die richtigen Verknüpfungen zu machen sobald sie in ein HK Gehirn transplantiert werden. **Goldman** sagt, wir einwickeln ein besseres Verständnis dafür wie diese Zellimplantate wirken könnten (aber wir sind noch nicht bereit für neue Versuche). Das Gehirn besitzt viele Arten an Zellen - Neurone, welche das Denken übernehmen sind die berühmtesten, aber es gibt noch viele andere ‘Unterstützer Zellen’. Eine Art ‘Unterstützer’ Zelle wird Astrozyt genannt. Zellen aus humanen Embryonen, welche in das Maus Gehirn gespritzt werden können die Mauseigenen Zellen ersetzen. In der HK könnte es von Vorteil sein, embryonale Stammzellen zu transplantieren und zu Hoffen, dass diese die Astrozyten der HK Patienten ersetzen. Astrozyten helfen bei der elektrischen Aktivität der Neurone mit, gesunde Astrozyten zu besitzen, könnte also gut für das HK Gehirn sein. Man sollte beachten, dass diese Mensch/Maus Experimente bisher noch nicht in HK Mäusen versucht wurden - nur in gesunden Mäusen. Dennoch innovativ. **Goldman** und Andere haben bessere Rezepte um ‘Medium Spiny Neurone’ aus Stammzellen zu generieren. Das diejenigen die in der HK früh sterben.

18:12 - **George Yohrling** von der HDSA gibt das Human Biology Research Fellowship Programm bekannt. Eine Förderung für Patienten orientierte HK Forschung.

Zusammenfassung zum Sonnenuntergang

Das ist das Ende des zweiten Tages, und wir kommen vermehrt in das Gebiet von Ideen und Ansätzen, die jetzt oder in naher Zukunft direkt auf die Behandlung der Huntington Erkrankung abzielen. Wir wissen aus Gesprächen von Familienmitgliedern, wie frustrierend es ist, andauernd davon zu hören, dass man sich Behandlungsmöglichkeiten nähert, denn alle HK Familienmitglieder möchten hören, dass wir eine Therapie haben die funktioniert. Alles was wir machen können ist die Worte von Robert Pacifici, dem Leiter der Forschung bei CHDI, zu wiederholen. “Die Medikamente werden kommen". Heute haben wir über viele Behandlungen gehört, Einige davon **sehr** kurz vor klinischen Studien, Andere mehr erforschend und experimentell. Medikamentenjäger nennen dies eine “volle Pipeline” und es ist ein Zeichen für ein gesundes, erblühendes Wissenschaftsprogramm mit dem Potential Medikamente zu liefern, die für die HK entworfen wurden und wirklich helfen können, und jedes weitere Jahr besser werden. Morgen, am letzten Tag des Treffens, werden die Wissenschaftler der CHDI die sehnsüchtig erwarteten Updates Ihrer internen Programme die einige der heißesten Ziele für Therapien der Huntington Erkrankung verfolgen, vorstellen.

Die Autoren haben keinen Interessenkonflikt offenzulegen. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...

Glossar

Stammzellen Zellen, die sich in verschiedene Zelltypen teilen können

Therapie Behandlungen

Neuron Gehirnzellen, die Informationen speichern und übertragen

---

© HDBuzz 2011-2015. Die Inhalte von HDBuzz können unter der Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License frei verbreitet werden.

HDBuzz ist keine Quelle für medizinische Ratschläge. Für weiterführende Informationen siehe hdbuzz.net
Erstellt am 19. Oktober 2015 — Heruntergeladen von http://de.hdbuzz.net/124