"Buzzilia" vom Huntington-Weltkongress: Tag 4

#Buzzilia, Tag 4: Jeff's und Ed's Zusammenfassung der Ereignisse vom letzten Tag des Huntington-Weltkongresses in Rio

Von Dr Jeff Carroll | 12. Oktober 2013 | Bearbeitet von Professor Ed Wild

Übersetzt von Michaela Winkelmann
Ursprünglich veröffentlicht am 18. September 2013

Unser Abschlussbericht vom letzten Morgen des Huntington-Weltkongresses (englisch: World Congress on Huntington's Disease, abgekürzt: WCHD) in Rio de Janeiro (Brasilien).

08:12 - **Bernhard Landwehrmeyer** (Ulm und CHDI) beginnt die therapeutische Sitzung des WCHD mit einer Diskussion der Medikamente, die in der Entwicklung sind.

08:15 - **Landwehrmeyer**: Es gibt mindestens 4 Unternehmen, die gerade Medikamente für ein bestimmtes Ziel der Huntington-Krankheit – sogenannte "Phosphodiesterasen" - entwickeln. Das Ziel ist klar in Sicht, der Weg dorthin nicht! Er behauptet, wir haben ein "Luxus-Problem", es sind zu viele mögliche Behandlungen, die wir für die Huntington-Krankheit ausprobieren könnten. Wie setzen wir also Prioritäten? Welches von all den möglichen neuen Medikamenten sollten wir zuerst testen? Wie viele Beweise brauchen wir? Wir haben einen Weg. Wir können mehrere therapeutische Studien mit erfahrenen Prüfzentren auf 4 Kontinenten parallel durchführen.

Bernhard Landwehrmeyer gibt einen Überblick über die vielen vergangenen, laufenden und geplanten Huntington-Medikamentenstudien

08:28 - **David Craufurd** (University of Manchester, Großbritannien) spricht die Behandlung der „psychiatrischen“ oder „Verhaltens“-Symptome der Huntington-Krankheit an.

08:29 - **Craufurd**: Verhaltensprobleme (wie Angst und Depression) sind häufig und können sehr belastend sein, sind aber in den meisten Fällen auch behandelbar. Unsere Fähigkeit, die Verhaltensauffälligkeiten (und die Huntington-Krankheit im Allgemeinen) durch die multidisziplinäre Betreuung durch Experten zu behandeln hat sich dramatisch verbessert. Patienten, die in den Huntington-Kliniken betreut werden, führen länger ein qualitativ besseres Leben. Die Apathie (der Verlust der Motivation) ist eine besonders große Herausforderung. Häufig bei der Huntington-Krankheit und schwer zu behandeln. Anders als bei Depressionen. Verhaltensprobleme benötigen oft hohe Dosierungen und Kombinationen von Medikamenten, so ist der Beitrag von Psychiatrie-Spezialisten von wesentlicher Bedeutung (z. B. die Huntington-Klinik). Medikamentenbehandlungen für Depressionen usw. müssen bei der Huntington-Krankheit oft viel länger fortgesetzt werden, weil es eine physische Erkrankung des Gehirns ist.

08:53 - **Binit Shah**, ein Neurologe der an der Huntington-Krankheit arbeitet, beschreibt die “Tiefenhirnstimulation” (englisch: Deep Brain Stimulation, abgekürzt mit DBS) bei der Huntington-Krankheit. Bei der DBS legen Chirurgen eine feine Elektrode direkt ins Gehirn, so dass sie ein bestimmtes Teil des Gehirns stimuliert. Die Idee ist, dass man ein bestimmtes Teil des Gehirns, das bei der Huntington-Krankheit nicht ausreichend funktioniert, vielleicht direkt umschaltet, damit es normal funktioniert. Basierend auf dem Verlust von Gewebe in Huntington-Gehirnen haben Chirurgen und Neurologen eine bestimmte Gehirnregion, auf die sie gerne bei der Huntington-Krankheit zielen würden.

09:03 - **Shah**: Vom ersten DBS-Fall bei der Huntington-Krankheit wurde im Jahr 2004 berichtet, als Chirurgen dies an in einem einzigen Huntington-Patienten mit positiven Auswirkungen auf die Bewegungen durchführten. Obwohl der Patient, der die DBS bei der Huntington-Krankheit empfangen hatte, nach der Behandlung bessere Bewegungen zeigte, schien es seiner täglichen Funktion nicht viel zu helfen. Seitdem wurde von mehreren DBS-Studien bei der Huntington-Krankheit mit variabel ermutigenden Ergebnissen berichtet.

9:14 - Nachtrag zum Vortrag von **Prof. Landwehrmeyer**: Die Huntington Study Group führt eine Studie mit einer modifizierten Version von Tetrabenazin für die Chorea durch. Die HSG-Studie heißt FIRST-HD.

09:25 - **Dr. Francis Walker** hält einen Vortrag über die Sprech- und Schluck-Probleme bei der Huntington-Krankheit, die auch sehr häufig sind.

09:26 - **Walker**: Logopäden und Sprachtherapeuten haben darin bereits Know-How, aber die Huntington-Krankheit erfordert Fachwissen. Ultraschall kann ein nützliches Werkzeug sein, um eine Vorstellung davon zu bekommen, warum das Schlucken bei der Huntington-Krankheit problematisch sein kann. Die Schluckprobleme werden durch die Kombination von zusätzlichen unwillkürlichen Bewegungen, dem Verlust der freiwilligen Bewegungen

und psychischen Veränderungen verursacht. Ein großes Problem ist die Impulsivität - die Nahrung zu verschlingen und unkoordiniert zu schlucken und zu atmen. Die gute Nachricht ist, dass das Gutachten zu nützlichen Ratschlägen und Übungen führen kann, um beim Schlucken zu helfen und es sicher zu halten.

> **„Damit die Dinge so schnell wie möglich geschehen, müssen wir alle zusammenarbeiten. “**

10:19 - Wir haben die Sitzung zur Gen-Stummschaltung am WCHD gestartet, sie beginnt mit einem Vortrag von **Neil Aronin**, der an diesem Ansatz der Huntington-Krankheit arbeitet. Aronin's Team arbeitet an einer Therapie-Art, die "RNAi" genannt wird. Das Ziel ist es, ein spezifisches Gen abzuschalten oder stillzulegen. Für die Huntington-Therapie will man wir in der Lage sein, das Huntington-Gen, das die Ursache der Krankheit ist, zum Schweigen zu bringen. Aronin's Ansatz beruht auf der Verwendung deaktivierter Viren, die in das Gehirn injiziert werden und die Stummschaltungs-Medikamente ausliefern. Nachdem Aronin's Team die Viren in ein Mausgehirn injiziert, beobachten sie Reduzierungen im Huntington-Gen.

10:29 - Aber Mäusegehirne sind klein. Um festzustellen, ob die Stummschaltungs-Technik in größeren Gehirnen funktionieren könnte, injiziert Aronin's Team die Gehirne von Schafen! Aronin's Team wird Schafe studieren, um den besten Virus-Typ und die Injektions-Menge zu untersuchen, um so viel Gehirn wie möglich abzudecken. Erfreulicherweise hat Aronin's Team keinen Verlust von Gehirnzellen oder andere Arten von Toxizität beobachtet, die aus diesen Stummschaltungs-Injektionen resultieren. Um eine größere Sicherheitsstudie durchzuführen, macht sich Aronin's Team auf den Weg nach Australien, um 60 Schafe mit den Huntington-Stummschaltungsmedikamenten zu injizieren. Aronin will Methoden entwickeln, um Stummschaltungsmedikamente auszuliefern ohne die Gehirn-Injektionen machen zu müssen und untersucht neue Möglichkeiten.

10:40 – Als nächstes folgt ein weiterer Gen-Stummschaltungs-Vortrag durch **Doug Macdonald** von CHDI, der mit Isis Pharmaceuticals an einem anderen Ansatz arbeitet. Wie Aronin wird das Isis-Team das Huntington-Gen stummschalten, aber mit einer anderen Art von Medikament namens "Antisense-Oligonukleotide" oder ASOs. Macdonald gibt einen Überblick über die breite Palette von Technologien, die zur Verfügung stehen, um das Huntington-Gen zum Schweigen zu bringen – er listet 13 verschiedene aktive Bemühungen auf

10:54 - **Macdonald**: Ein ASO-Gen-Stummschaltungs-Ansatz mit Isis und Roche läuft gut, und es ist geplant am Ende des Jahres 2014 Studien am Menschen zu beginnen. Im Gegensatz zu den beschriebenen viralen Studien, werden ASOs in die Rückenmarksflüssigkeit anstatt ins Gehirn injiziert. ASOs verbreiten sich weit um das Gehirn herum, gehen aber nicht in die tiefen Teile des Gehirns so wie die Medikamente, die injiziert werden.

10:57 - Macdonald und Aronin vermuten, dass der injizierte virale Ansatz und der infundierte ASO-Ansatz Ergänzung sein könnten, um das Huntington-Gen zum Schweigen zu bringen.

10:59 - **Macdonald**: CHDI und Sangamo entwickeln eine aufregende neue Technologie, die den Teil des Huntington-Gens aus der DNA ausschneidet. Macdonald zeigt frühe Anzeichen dafür, dass die DNA-Schnitttechnik nicht nur funktioniert, sondern zwischen dem “guten” und dem “schlechten” Huntington-Gen unterscheiden kann. Bevor wir mit den Huntington-Stummschaltungs-Medikamenten in die Klinik gehen, müssen wir in der Lage sein, das Huntington-Niveau bei den Menschen genau zu messen. Ansonsten ist es schwer zu wissen, ob das Stummschaltungs-Medikament funktioniert!

11:06 - **Macdonald**: Das CHDI-Team arbeitet mit Dingen, die jetzt in der Lage sein könnten, um das Huntington-Genprodukt in der Rückenmarksflüssigkeit von Patienten zu messen. Dies wäre ein großer Vorteil, denn es würde uns nachweisen lassen, dass die Gen-Stummschaltungs-Medikamente tatsächlich bei den Menschen funktionieren. Im Hinblick auf die Gen-Stummschaltung der Huntington-Krankheit werden wirklich erstaunliche Fortschritte gemacht! Wenn ein Ansatz nicht funktioniert, gibt es andere in der Pipeline.

Heute war der letzte Tag des Weltkongresses in 2013, aber die Wissenschaft geht weiter ... 24 Stunden pro Tag/7 Tage pro Woche/365 Tage pro Jahr.

11:14 - **Joaquim Ferreira** erinnert das Publikum, dass es zwar derzeit keine Heilung für die Huntington-Krankheit gibt aber eine Reihe von Behandlungen, um den Patienten zu helfen. Jedes Stadium der Huntington-Krankheit ist eine andere Krankheit in Bezug auf die Symptome. Die Ärzte, die Huntington-Patienten behandeln, müssen also auf Veränderungen reagieren. Viele der Behandlungen, die die Ärzte für die Huntington-Krankheit anwenden, haben keinen großen Beweis, sondern beruhen auf Erfahrungswerten.

11:45 - **Raymund Roos** (Leiden, Niederlande) spricht über eine optimale Versorgung im späten Stadium der Huntington-Krankheit, oft übersehen oder außerhalb der Reichweite der Huntington-Kliniken.

11:51 - **Roos**: Die Niederlande sind ein Land, wo medizinische Sterbehilfe eine Option ist. Sie ist sehr streng geregelt, um sicherzustellen, dass sie nicht missbraucht wird. Die meisten Patienten haben darüber nachgedacht, wie sie an ihrem Lebensende gepflegt werden

wollen. Wird oftmals in den Diskussionen mit den Ärzten übersehen.

12:00 - Der Kongress schließt mit der Danksagung an das lokale Organisationskomitee und insbesondere an Dr. Francisco Cardoso und Dr. Monica Haddad.

Schlussfolgerungen

Während den heutigen Sitzungen konnten wir die Anzahl der klinischen Studien mit neuen Therapien, die für die Huntington-Krankheit konzipiert wurden, fast nicht mehr zählen. Einige sind im Gange, andere geplant. Einige zielen auf die Verbesserung der Symptome der Huntington-Krankheit, andere auf die Verlangsamung oder Verhinderung ihres Fortschreitens. Damit die Dinge so schnell wie möglich geschehen, müssen wir alle zusammenarbeiten. Die Forscher müssen mit der Wissenschaft vorankommen und die Huntington-Familienmitglieder müssen auf dem Laufenden und informiert bleiben und bereit, um sich als Freiwillige - nicht später, sondern jetzt - bei jeder und aller auf die Patienten ausgerichtete Forschung mitzumachen, um sicherzustellen, dass keine Sekunde verlorengeht, um diese Behandlungen zu den Menschen zu bringen, die sie brauchen.

Auf Wiedersehen aus Rio, freuen Sie sich auf die Videos von unseren „Buzzilia"-Sitzungen und bleiben Sie dran an HDBuzz für Updates zu allen Neuigkeiten der Huntington-Forschung, die bedeutsam sind.

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

GLOSSAR

Tiefenhirnstimulation Direkte Stimulation des Gehirns, die elektrische Impulse durch winzige Drähte anwendet.

Antisense Die Hälfte der DNA-Doppelhelix, die meist als Reservekopie dient, aber manchmal Botenmoleküle produziert

Therapie Behandlungen

Chorea Unwillkürliche, unregelmäßig ausladende Bewegungen, die bei der Huntington-Krankheit häufig auftreten

ASOs Eine Art von Gen-Stummschaltungs-Behandlung, in der speziell entworfene DNA-Moleküle genutzt werden, um ein Gen auszuschalten

ALS Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

© HDBuzz 2011-2024. 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 16. Januar 2024 — Heruntergeladen von https://de.hdbuzz.net/141