HDBuzz

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

EuroBuzz 2014: Tag Zwei

HDBuzz berichtet vom zweiten Tag mit Wissenschaft vom Treffen des Europäischen Huntington-Netzwerkes in Barcelona

Von Dr Jeff Carroll am 3. November 2014
Bearbeitet von Dr Ed Wild; Übersetzt von Michaela Grein
Ursprünglich veröffentlicht am 20. September 2014

Hier ist Ed's und Jeff's Live-Twitter-Bericht vom zweiten Tag des EHDN-Treffens 2014. Unseren letzten Bericht wird es morgen geben, und wir werden bald die Videos von unseren Zusammenfassungen auf der Bühne hochladen.

07:59 – Huntington-Wissenschaftler ertrinken in den Daten, die aus ihren Experimenten erzeugt werden, wie viele Menschen, die in den High-Tech-Bereichen arbeiten

08:00 - Die heutige Wissenschaft beginnt mit einem Vortrag von Christian Neri zum Thema "Systembiologie", computergestützte Techniken, die dabei helfen, die Daten zu verstehen

Ralf Reilmann und andere Forscher haben FÜNF neue klinische Studien der Huntington-Krankheit angekündigt

08:02 - **Christian Neri** eröffnet den Tag 2 von EHDN14. Neri sagt, dass die Systembiologie die Huntington-Experimente, die in verschiedenen Spezien gemacht werden, miteinander verknüpfen kann. Er nennt die

Verbindungen zwischen den Spezien “Zipper-Gene”. Mit Computern, die Gigabyte oder sogar Terabyte an Daten aus den Experimenten erzeugen, um die Huntington-Krankheit zu verstehen, wie können wir all das verstehen? Neri’s Team arbeitet nicht nur der an ihren eigenen “Big Data”, sondern wendet ihre Techniken an den Daten an, die von Wissenschaftlern auf der ganzen Welt erzeugt wurden.

08:58 – Als nächstes gibt es beim EHDN14 eine Sitzung zu den klinischen Studien. Halten Sie sich bereit für einige aufregende Neuigkeiten.

09:02 - Nun beginnt eine spannende Sitzung über den Stand und die Zukunft der klinischen Studien für die Huntington-Krankheit, und das ist es, weshalb wir alle hier sind! Das EHDN hat eine Task Force für klinische Studien aufgesetzt, eine Gruppe von Experten, die dabei helfen, klinische Huntington-Studien zu entwerfen und auszuführen. Die Task Force für klinische Studien des EHDN wurde entwickelt, um Gruppen, die neu in Bezug auf die Huntington-Krankheit sind, zu helfen gute Studien zu entwerfen und auszuführen.

09:23 - **Bernhard Landwehrmeyer** spricht auf der Konferenz über den Stand der “Pride-HD”-Studie von Pridopidine. Pridopidine, das zuvor “Huntexil” genannt wurde, zeigte motorische Verbesserungen in 2 früheren Studien (HART und MermaiHD). The Pride-HD Studie wird von Teva Pharmaceuticals durchgeführt und vom EHDN unterstützt.

09:34 - **Jan Vesper** führt eine Studie der “ Tiefenhirnstimulation” für die Huntington-Krankheit durch – bei der bestimmte Regionen des Gehirns mit Elektroden stimuliert werden. Nach der Implantation der Elektroden bei 6 Patienten, die für 12 Monate beobachtet wurden, zeigten sich einige Verbesserungen bei den Bewegungssymptomen. Basierend auf diesen Ergebnissen wird Vesper eine größere Studie mit 40 Patienten in 4 europäischen Ländern beginnen, diese Studie heißt HD-DBS.

09:42 - **Ralf Reilmann** spricht beim EHDN über “Legato-HD”, eine Studie des Medikamentes Laquinimod bei Huntington-Patienten. Laquinimod ist ein Medikament, das den Prozess namens “Entzündung” blockiert, der in den Gehirnen von Huntington-Patienten passiert. Laquinimod wurde bei Patienten mit Multipler Sklerose getestet, einer anderen Krankheit, die Entzündungen und absterbende Neuronen beinhaltet. Legato-HD wird so gestaltet werden, um die Sicherheit von Laquinimod bei den Huntington-Patienten zu untersuchen, und wie es die motorischen Symptome verbessern könnte. In die Studie werden Menschen mit sehr frühen Huntington-Symptomen aufgenommen. Die TRACK-HD-Studie hat bei der Gestaltung von Legato-HD und anderen klinischen Studien geholfen. Während sich die Studie auf die Veränderung der Bewegungssymptome konzentriert, wird auch eine Reihe von bildgebenden Tests durchgeführt werden. Ralf Reilmann sagt: “Im EHDN sind wir alle an allen Studien beteiligt”.

09:53 - **Christina Sampaio** von der CHDI Foundation nennt den Teilnehmer den aktuellen Stand zu einer Art von Medikamenten namens “PDE10-Inhibitoren”. Derzeit gibt es 2 Pharma-Unternehmen (Omeros und Pfizer), die die PDE10-Inhibitor-Medikamente verfolgen. Die Studie von Omeros umfasst 120 Huntington-Patienten in den USA, mit einem primären Ziel der Sicherstellung der Sicherheit, aber auch um nach den Huntington-Symptomen zu schauen. Die Studie von Pfizer (“APACHE”) umfasst 56 Patienten in Frankreich und beinhaltet die Bildgebung der Gehirnfunktion. Eine zweite Studie von Pfizer namens “Amarylis“ begann vor 2 Tagen und wird Patienten in den USA, Kanada, Deutschland und

> ”Wow, was für eine Session! So viele neue, spannende Studien wurden diskutiert. Es ist eine großartige Zeit für die Huntington-Forschung“

Polen aufnehmen. Eine frühe Phase der Amarylis-Studie verwendet die Bildgebung des Gehirns, um den Forschern zu ermöglichen, die Wirkung des Medikaments im Gehirn der Patienten zu sehen.

10:05 - Sarah **Tabrizi** spricht über den Stand der ersten Huntington-Gen-Stummschaltungs-Studie bei Menschen, eine wirklich aufregende Neuigkeiten! Isis Pharmaceuticals hat Medikamente entwickelt, die sogenannten "Antisense Oligonukleotide", die das Niveau des Huntington-Proteins herunterdrehen. Diese "ASOs" bewirken, dass es den Huntington-Mäusen besser geht, wenn es dem Gehirn direkt zugeführt wird. Isis hat ein spezielles Medikament "HttRx" entwickelt, dass sie nun planen, den Huntington-Patienten über eine Infusion in die Rückenmarksflüssigkeit zuzuführen. Derzeit beendet Isis die wichtigen Tierstudien zur Toxizität um sicherzustellen, dass das Medikament sicher ist, bevor man es bei den Menschen einsetzt.

10:11 - **Sarah Tabrizi**: Bei der ersten Studie dreht sich "alles um die Sicherheit", sie wurde entwickelt, um sicherzustellen, dass die Zuführung der ASOs in das Gehirn keine Patienten verletzt. Die Injektion von Medikamenten in die Rückenmarksflüssigkeit wird schon bei Studien zum Krebs angewendet. ASOs, die über die Rückenmarksflüssigkeit zugeführt werden, breiten sich rund um das Gehirn aus. Der Plan ist es, sie mit Pausen auszuliefern, anstatt ständig. Isis arbeitet an einer weiteren Krankheit, Spinale Muskelatrophie, und liefert ähnliche Medikamente an Kinder über ähnliche Techniken. Kindern mit SMA wurde ein Medikament sehr ähnlich zum HttRx-Medikament gegeben, und es war sicher. Mehr als 70 SMA-Patienten wurden ASOs in die Rückenmarksflüssigkeit gegeben ohne dass Nebenwirkungen gemeldet wurden. Die Untersuchung von Gehirngewebe von einem Patienten, der mit SMA-ASOs behandelt wurde, zeigt, dass diese Medikamente im Gehirn weit verbreitet wurden. Die Gen-Stummschaltungs-Studie soll in der ersten Hälfte des Jahres 2015 beginnen und wird vor allem auf die Sicherheit gerichtet sein. ASOs können nicht sehr gut in das Striatum durchdringen, eine Gehirnregion von

besonderem Interesse bei der Huntington-Krankheit, aber verbreiten sich weit in der Gehirnrinde. Das Ziel der ersten Studie von ASOs bei der Huntington-Kranhkeit ist sicherzustellen, dass sie sicher sind.

10:17 - Wow, was für eine Session! So viele neue, spannende Studien wurden diskutiert. Es ist eine großartige Zeit für die Huntington-Forschung!

12:06 - Heute Nachmittag sprechen wir über die Symptome der Huntington-Krankheit außerhalb des Gehirns, ein wenig untersuchter aber wichtiger Teil der Huntington-Krankheit

12:07 - Gill Bates von King's College London präsentiert ihre Erkenntnisse zu den Herzmuskel-Anomalien bei Huntington-Mäusen. Sie hat seit langem Interesse an den gesamten Körper Symptomen der Huntington-Krankheit und nutzt Maus-Modelle der Krankheit, um sie zu studieren. Wenn ihr Labor genau hinschaut, sehen sie Veränderungen bei den Huntington-Mäusen in einer Reihe von Geweben - Fett, Haut, Leber und andere Organe. Huntington-Mäuse haben über die Zeit Veränderungen in ihrer Herzfunktion, verglichen mit nicht-Huntington-Mäusen. Aber ist das wichtig? Haben es die Huntington-Patienten mit Herzproblemen zu tun? Es gibt einige Hinweise, dass Huntington-Patienten oft an Herzkrankheiten sterben, und leicht abnormale Herzfunktion haben

12:18 - Gill Bates ist auch an Veränderungen der Skelettmuskulatur bei Huntington-Mäusen interessiert, die eine verringerte Muskelmasse haben, wenn sie altern. Im Allgemeinen wissen wir ganz viel darüber, wie die Muskeln wachsen und schrumpfen, kann uns dieses Wissen helfen, um zu verstehen, was bei der Huntington-Krankeit los ist? Sie verwendet experimentelle Medikamente bei ihren Mäusen, um zu versuchen und zu sehen, ob sie den Muskelschwund verhindern, den sie feststellt. Die behandelten Mäuse verlieren kein Gewicht, während unbehandelte Huntington-Mäuse eine erhebliche Menge an Gewicht verlieren. Die Muskeln der behandelten Mäuse schrumpfen nicht wie es die Muskeln von Huntington-Mäusen normalerweise tun. Überraschenderweise zeigen die

Huntington-Mäuse, die mit den Medikamenten behandelt wurden, die die Muskelfunktion verbessern, keine bessere Leistung bei den Bewegungstests.

12:40 - Maria Björkqvist von der Universität Lund ist ein weiterer “Ganzkörper” Huntington-Forscher. Björkqvist hat einen Blick auf Fettgewebeproben von Huntington-Patienten geworfen, um zu sehen, ob die Mutation hier irgendetwas verändert. Es gibt Unterschiede welche Gene im Fettgewebe von Huntington-Patienten an- und ausgeschaltet sind. Veränderungen im Fettgewebe, die mit Huntington in Verbindung stehen, könnten wichtig sein, weil viele Huntington-Patienten Gewicht verlieren

Barcelona ist Gastgeber der Plenarsitzung 2014 des Europäischen Huntington-Netzwerkes

13:01 - Michael Orth aus Ulm präsentiert die ersten Ergebnisse von der ersten “multi-tissue molecular” oder MTM-Studie bei der Huntington-Krankheit. Die MTM-Studie nahm Haut-, Blut-, Fett- und Muskelgewebeproben von den gleichen Patienten, um die Auswirkungen der Mutation zu untersuchen. Orth sagt uns, dass das Muskelgewebe von Huntington-Patienten völlig normal aussieht! Aber es könnten auch noch immer leichte Veränderungen gefunden werden. Zu begründen, was bei der Huntington-Krankheit normal ist, ist genauso wichtig wie die Suche danach, was nicht normal ist.

16:29 - Wir bereiten etwas Besonderes für unsere Session auf der Bühne in etwa einer halben Stunde vor

17:09 - Wir haben gerade mit Prof. Bernhard Landwehrmeyer (Präsident des Europäischen Huntington-Netzwerkes) die Pie-In-The-Face-Challenge (Torte-Ins-Gesicht) für Huntington gemacht http://youtu.be/CjvcnnUoJ9E

17:18 - Dr. Jeff Carroll (Mitbegründer von HDBuzz) nimmt ebenfalls mit bei Pie-In-The-Face für Huntington http://youtu.be/LD9SpD1Plyg

---

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.

Entzündung Aktivierung des Immunsystems, vermutlich im Huntington-Krankheitsprozess beteiligt

PDE10 Ein Hirnprotein das sich gut als Ziel für Medikamente und als Biomarker eignet. PDE10 findet sich fast ausschließlich in den Teilen des Gehirns, wo Hirnzellen durch die Huntington-Krankheit sterben.

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

---

© 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 4. Oktober 2015 — Heruntergeladen von http://de.hdbuzz.net/175