

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

## **HDBuzz adressiert Ihre Anliegen auf der “Annual HD Therapeutics Conference “ des Unternehmens CHDI Inc.**



HDBuzz besucht Palm Springs um mit dem Unternehmen CHDI über die aktuellen Entwicklungen auf dem Gebiet der HK Forsc

Von Dr Ed Wild am 26. Februar 2011

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll; Übersetzt von Martina Merkle

Ursprünglich veröffentlicht am 28. Januar 2011

---

*In den letzten Jahren hat sich die Firma CHDI Inc. als einzelnes Unternehmen zur größten treibenden Kraft hinter der Entwicklung von neuen Medikamenten zur Heilung der Huntington Krankheit entwickelt. Die von CHDI einmal im Jahr organisierte Konferenz zur Entwicklung von neuen Medikamenten bringt pharmazeutische Unternehmen, biotechnologische Firmen und Forscher zusammen, um ihre aktuellen brandneuen Ergebnisse mitzuteilen und darüber zu sprechen, wie man die Krankheit heilen kann. HDBuzz wird von der Konferenz berichten – und wir wollen dort Ihre Fragen vorstellen.*

### **CHDI**

Viele Menschen, die an der HK interessiert sind, haben wahrscheinlich noch nie von CHDI Inc. gehört. Das sollte sich ändern, denn CHDI und Angehörige aus Familien mit der Huntington Erkrankung gibt, verfolgen das gleiche Ziel. Auf seiner Website weist das Unternehmen ausdrücklich darauf hin, dass es sein Bestreben ist, “auf dem schnellsten Wege Medikamente zu finden und zu entwickeln die den Ausbruch der HK verzögern oder ihr Fortschreiten zu verlangsamen”. Das ist das Ziel hinter dem wir alle stehen.

Wer also ist CHDI und wie passt das Unternehmen in die HK Forschungslandschaft?

CHDI ist ein gemeinnütziges Biotechnologie-Unternehmen.

Das bedeutet dass die Wissenschaftler die für das Unternehmen arbeiten, ausschließlich auf dem Gebiet der Huntingtonforschung tätig sind. Es ist aber keinesfalls so,

dass ein Wissenschaftler nur an einem einzelnen Projekt arbeitet. Jeder Wissenschaftler bei CHDI koordiniert mehrere externe Projekte. Sie arbeiten sowohl mit Laboren an Universitäten zusammen als auch mit kommerziellen Organisationen, die Ihre Forschung auf Vertragsbasis durchführen. Auf diese Art und Weise ist ein Unternehmen dieser Größe in der Lage Grundlagenforschung in großem Ausmaß durchzuführen.



CHDI is ein gemeinnütziges  
,virtuelles Biotechnologie  
Unternehmen'

### **Annual Therapeutics Meeting**

Seit 6 Jahren organisiert CHDI eine Konferenz, um die Top-Experten auf dem Gebiet der Huntingtonforschung an 4 Tagen zum Austausch von Ideen und zur Diskussion über neue potentielle Therapien, zusammenzubringen.

Es gibt viele akademische Konferenzen aber das CHDI Meeting ist eine außergewöhnliche Erfahrung. Die Beziehungen die CHDI mit Mitarbeitern entwickelt hat, umspannen nicht nur die akademische und klinische Forschung sondern auch den kommerzielle Seite bei der Herstellung von Medikamenten.

Man trifft nur selten auf eine so große Bandbreite an Expertise auf einem einzelnen wissenschaftlichem Kongress: Ausgangsbasis von einzigartigen gemeinsamen Projekten von Forschern an Universitäten und kommerziellen Organisationen.

Bei einem so klaren Auftrag von CHDI steht der Patient im Fokus der Konferenz und damit die Frage danach wie Ideen in Behandlungsformen umgesetzt werden können.

Die Konferenz verspricht in diesem Jahr bedeutende neue Informationen von vielen Wissenschaftlern. An einem Vormittag werden ausschließlich Präsentationen mit dem Schwerpunkt auf Strategien zur Reduzierung der Huntingtin Aggregate stattfinden. Diese Ansätze beziehen auch das Gen-Silencing mit siRNA, ein Weg von dem sich viele an der HK Interessierte einen großen Fortschritt versprechen. Andere Veranstaltungen widmen sich den Bemühungen das Energieproblem zu verstehen, dass man bei der Krankheit beobachten kann, dem Einsatz von Wachstumsfaktoren als Therapie und anderen spannenden Bereichen der Forschung.

## **Die Forschungspipeline**

Die Entwicklung eines Medikamentes ist ein langer Prozess. Sie beginnt, wenn ein Wissenschaftler eine Beobachtung macht, die erklärt, wie es zu einer Krankheit kommt. Zunächst müssen Moleküle gefunden werden, die den Prozess ändern können. Die Testversuche dazu werden normalerweise an isolierten Zellen durchgeführt. Dann muss das Medikament in Tierversuchen getestet werden. Man startet normalerweise mit Fruchtfliegen. Im Anschluss daran bedient führt man Versuche an weiter entwickelten Lebewesen wie Mäusen durch. Wenn die Medikamente auch jetzt noch Wirkung zeigen, müssen sie auf ihre Toxizität hin getestet werden, um sicherzustellen, dass sie keine gefährlichen Nebenwirkungen haben. Wenn sich die Medikamente bei den Tieren als sicher und effektiv erweisen haben müssen sie im nächsten Schritt am Menschen getestet werden.

Organisationen die Medikamente entwickeln, arbeiten meistens an vielen verschiedenen Medikamenten gleichzeitig. Sie sprechen davon dass Sie Medikamente in der Pipeline haben - einige davon in einem frühen Entwicklungsstadium und andere schon weiter fortgeschritten. CHDI hat seine eigene Pipeline für neue Medikamente und in diesem Jahr ist ein ausgesprochen spannend klingender Bericht mit dem Titel CHD Internal Late Stage Programs'.

## **Fragen an CHDI? Teilen sie uns diese**

## mit!

HDBuzz hat die Möglichkeit auf der diesjährigem Konferenz ein Exklusivinterview mit dem Senior Management von CHDI durchzuführen. Wir werden uns mit Robert Pacifici, CHDI's Chief Scientific Officer sowie mit den Vice Presidents of Biology (Ignacio Muñoz-Sanjuan) and Chemistry (Celia Dominguez) zusammensetzen. Wir hoffe, dass Huntigton Patienten und ihre Familien dadurch die außergewöhnliche Gelegenheit haben mehr über das Unternehmen CHDI und seine Arbeit an der Entwicklung neuer Medikamente zu erfahren.

” Was würden Sie gerne erfahren, wenn Sie mit Leuten sprechen könnten, die einen großen Einfluss auf die Huntingtonforschung haben? “

Wir würden ihre Fragen gerne adressieren. Was würden Sie gerne erfahren, wenn Sie mit Leuten sprechen könnten, die einen großen Einfluss auf die Huntingtonforschung haben?

Haben Sie Fragen zum Entwicklungstand der Forschung in bestimmten Bereichen?

Senden Sie Ihre Fragen an CHDI2011@HDBuzz.net und wir werden Sie direkt and das CHDI Management weiterleiten. Das ist ihre Gelegenheit Fragen zum Entwicklungsstand und der Zukunft der HK Forschung unmittelbar an die Leute zu richten, die sie maßgeblich beeinflussen. Zögern sie nicht, ihre Anliegen zu formulieren!

## HDBuzz, live von Palm Springs

Redakteure and Autoren von HDBuzz werden jeden Abend einen tagesaktuellen Artikel auf HDBuzz.net mit den neuesten Ergebnissen aus der Forschung in einfacher Sprache veröffentlichen.

Zum Ende der Konferenz werden wir unser Interview mit dem CHDI Management auf unserer website veröffentlichen.

Senden Sie ihre Fragen an CHDI2011@HDBuzz.net!

---

*Dr. Carroll und Dr. Wild haben vor Kurzem ein wissenschaftliches Forschungsprojekt mit finanzieller Unterstützung von CHDI durchgeführt und darüber hinaus kein weiteres Honorar erhalten. Das Europäische HK Netzwerk ein unabhängiges Netzwerk von Menschen die für die HK tätig sind unterstützt ihre Teilnahme an der Konferenz aus ihren eigenen Fonds. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...*

---

## Glossar

**Aggregate** Klumpen von Proteinen, die sich innerhalb von Zellen bei der Huntington-Krankheit und anderen degenerativen Erkrankungen bilden

**Therapie** Behandlungen

**siRNA** Eine Möglichkeit zur Abschaltung der Gene mit Hilfe von speziellen RNA-Molekülen -

wie DNA, aber nur aus einem einzigen Strang gemacht - die auf das Nachrichten-Molekül in den Zellen gerichtet sind und ihnen sagen, ein bestimmtes Protein nicht herzustellen

---

© HDBuzz 2011-2017. 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](http://hdbuzz.net)

Erstellt am 24. Juli 2017 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/015>