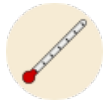


Neuigkeiten aus der Huntington-Forschung. In einfacher Sprache. Von Wissenschaftlern geschrieben Für die Huntington-Gemeinschaft weltweit.

Interview: CHDI Management



HDBuzz befragt 3 Top Wissenschaftler von CHDI, größter wissenschaftlicher und finanzieller Support der HK Forschung

Von Dr Jeff Carroll am 11. März 2012

Bearbeitet von Dr Ed Wild; Übersetzt von Martina Merkle

Ursprünglich veröffentlicht am 25. Februar 2011

CHDI Foundation, Inc ist eine einzigartiges Organisation zur Entwicklung von Medikamenten, das sich ausschließlich auf die Entwicklung Medikamente spezialisiert, die den Verlauf der Krankheit hinauszögern. CHDI ist der weltweit größte Sponsor und die weltweit größte Organisation im Bereich der Huntington Forschung, aber viele Betroffene haben von dem Unternehmen noch nie gehört Während der jährlichen CHDI Therapeutics Conference in Palm Springs, hatte HDBuzz ein Exklusivinterview mit 3 wissenschaftlichen Leitern des Unternehmens.

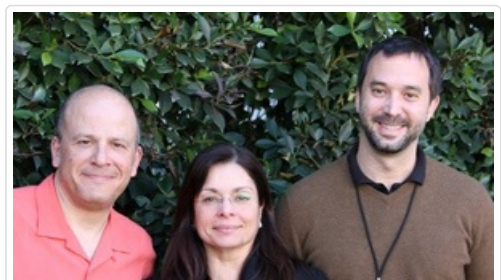
Warum ein Interview mit CHDI?

In den letzten 6 Jahren hat sich CHDI zu einem Unternehmen entwickelt, dass die Forschung an der HK weltweit maßgeblich unterstützt, dabei Behörden und kommerzielle Anbieter gleichermaßen überflügelt und die Forschung nicht nur finanziell unterstützt sondern auch vorantreibt.

Auf der jährlichen CHDI HD Therapeutics Conference treffen sich die weltweit renommiertesten Wissenschaftler aus Hochschullaboren sowohl der biowissenschaftlichen als auch der pharmazeutischen Industrie. Jeff Carroll und Ed Wilde saßen mit 3 führenden Wissenschaftlern -Dr. Robert Pacifici, Celia Dominguez und Ignacio Munoz-Sanjuan- des Unternehmens zusammen, um Ihnen die bahnbrechenden Neuigkeiten auf dem Gebiet der HK Forschung von der Konferenz übermitteln zu können.

Wer sind diese Wissenschaftler:

Robert Pacifici ist der Chief Scientific Officer von CHDI: Das heißt, er setzt die wissenschaftlichen Ziele für das gesamte Unternehmen fest. Celia Dominguez ist Vizepräsidentin und für den Bereich Chemie zuständig: Es ist Ihre Aufgabe, die Entwicklung von Molekülen zu überwachen, die dem Aufbau von potentiellen Medikamenten dienen. Ignacio



CHDI's Top Wissenschaftler:
(links nach rechts) Chief Scientific Officer Robert Pacifici, Vice President (Chemistry) Celia Dominguez und Vice President
Quelle: Gene Veritas

Muñoz-Sanjuan, ist Vizepräsidentin und für den Bereich Biologie verantwortlich, sie sagt vor allem, was die Medikamente, die CHDI herstellen bewirken sollen und überwacht die biologische Komponente des Medikamentenentwicklungs-Programms.

Kurz gesagt sind diese drei Wissenschaftler die Spitze der größten gemeinsamen Anstrengung Medikamente für eine Heilung von Huntington zu finden. Wir haben sie befragt, um Ihnen einen Blick auf die Persönlichkeiten hinter der Fassade zu ermöglichen und darauf, wie der einzigartige Ethos und die Struktur des Unternehmens die Forschung vorantreibt.

Wir fragten zunächst danach, wie Ihr Interesse an Wissenschaft geweckt wurde. Muñoz-Sanjuan erklärte, dass er in Spanien aufwuchs und von seinem Vater, einem Arzt inspiriert wurde. "Mir war schon sehr früh klar, dass ich ein Wissenschaftler werden wollte. Ein Ziel, das durch den frühen Tod meiner Mutter an Krebs noch verstärkt wurde." Angetrieben von dem Wunsch die Ursachen für die Krankheit herauszufinden und zu verstehen, ging er nach Amerika und hatte hier seine akademische Ausbildung. Später wurde für ihn die Welt der Entwicklung von Medikamenten interessant. Die Leidenschaft, mit der Dominguez Medikamente entwickelt ist unbändig. "Ich liebe es Puzzle zu lösen", sagt sie, indem ich Medikamente entwickle, die so wirken, wie es beabsichtigt ist: Die Arbeit von Dominguez und ihrem Team ist sehr praktisch - die anderen nennen sie scherzend "Elektronen Rücker" und zwar für ihre tägliche Schinderei bei der Neuordnung und Verbesserung der chemischen Strukturen und Moleküle. Letztendlich allerdings sind es die Chemiker, deren Aufgabe es ist, die Medikamente zur Heilung der Huntington Krankheit zu designen und zu bauen. Für Dominguez ist die Arbeit weit mehr als ein Job. Sie sagt, dass sie "immer ein Medikamentenjäger sein wollte".

Pacifici, der wissenschaftliche Kopf des Unternehmens teilt die Leidenschaft für die Entwicklung neuer Medikamente, weiß aber aus persönlicher Erfahrung, dass die Menschen mit dem Risiko an Huntington zu erkranken jeden Tag einer düsteren Zukunft entgegenblicken. "Ich leide auch an einer seltenen genetischen Krankheit, mein Vater hatte diese Krankheit und starb im Alter von 47 daran." Die scharfen Beobachtungen eines Arztes haben im Jahr 1972 zu der Entwicklung einer einfachen aber effektiven Behandlung geführt, welche die Krankheit, die für Pacifici's Familie verheerende Folgen hatte zu einem Zustand macht, mit dem man umgehen kann. " Ich war ein wirklich sehr krankes Kind, nahm die Tablette und war praktisch geheilt." Dieser Beweis für die Macht wissenschaftlichen Wissens motivierte Pacifici dazu, an der Entwicklung von Medikamenten zu arbeiten um auch andere Krankheiten zu bekämpfen.

Was macht das Unternehmen CHDI aus, wie unterscheidet es sich von anderen?

Huntington Familien hören von allen möglichen Bemühungen Medikamente zu entwickeln. Wie also unterscheidet sich CHDI von einem gewöhnlichen Labor oder einer Wohltätigkeitsorganisation? Pacifici dass es 4 Eigenschaften sind die CHDI einzigartig machen. Erstens ist CHDI eine Stiftung die keinen Profit macht. Obwohl das Unternehmen viel Geld in die Entwicklung neuer Medikamente investiert, wird CHDI nicht davon angetrieben einen großen Umsatz zu machen. Viele Unternehmen auch mit den besten Absichten den Patienten zu helfen

müssen sich auf das konzentrieren, was von den Wissenschaftlern des Unternehmens als "konkurrierende Intelligenz" bezeichnet wird. Das bedeutet, dass ein Unternehmen das ein Medikament zur Heilung von beispielsweise Parkinson entwickelt, immer auf dem aktuellen Stand ein muss, was die Konkurrenz gerade macht, damit es nicht abgehängt wird. Dominguez sagt dass man bei CHDI stattdessen die "gemeinschaftliche Intelligenz" schätzt, so wie die Stiftung versucht verschiedene Forscher zusammenzubringen, um die Forschung auf dem Gebiet der Huntington Krankheit voranzutreiben. Pacifici begründet dieses Einstellung damit, dass für CHDI die "Zeit zählt und nicht der Gewinn". Wie auch Huntingtonfamilien wird auch CHDI nur davon motiviert, neue Medikamente zur Heilung der Krankheit zu entwickeln - und je eher desto besser. " Pacifici erklärt: " Wir freuen uns genauso, wenn ein anderes Unternehmen ein Medikament findet. Egal wer die Heilung für Huntington findet, wir sind alle Gewinner."

Zweitens ist die Arbeit von CHDI ausschließlich fokussiert auf Huntington. Nur daran arbeitet das Unternehmen. Die meisten Pharmafirmen müssen mehrere Optionen bedienen, da die Entwicklung von Medikamenten ein kniffliges Geschäft ist bei dem die meisten Ansätze scheitern. Die Firmen sind von ihren kommerziellen Interessen beeinflusst, wenn es darum geht zu entscheiden, an welchen Krankheiten sie mit ihren eingeschränkten Ressourcen arbeiten. Aber CHDI ist anders, weil es nur an Huntington arbeitet, das bedeutet wiederum, dass sie sich nie die Frage stellen müssen, ob sie an der richtigen Sache arbeiten. Das ermöglicht ihnen auch eine langfristige Perspektive sodass sie einige Projekte unterstützen bei denen es Jahre dauert bis sie Erfolg zeigen und sie müssen trotzdem nicht befürchten dass sie untergraben oder in Verlegenheit gebracht werden, wenn ein anderes Projekt zuerst erfolgreich ist.

” Unser Maßstab ist die Zeit und nicht das Geld “

Außerdem ist CHDI einzigartig, weil es aus privater Hand finanziert wird (durch Spenden, die anonym bleiben wollen). Anders als viele Wohltätigkeitsorganisationen muss CHDI seine Ressourcen, Zeit oder Geld für Spenden einzusetzen, damit sie ihren Betrieb aufrecht erhalten können. Auch die meisten Biotechnologie Unternehmen müssen einen erheblichen Einsatz bringen wenn es darum geht, Geld für ihre Tätigkeiten aufzubringen, sei es auf dem Aktienmarkt oder von Risikokapitalanlegern. CHDI ist dazu nicht gezwungen und kann all seine Zeit und Energie darauf verwenden, neue Medikamente zur Heilung von Huntington zu entwickeln.

Ausserdem hat CHDI eine sehr interessante Struktur. CHDI hat sich schon früh gegen den Aufbau eigener Labors entschieden und stattdessen Verbindungen von bestehenden akademischen behördlichen und industriellen Forschern zur Durchführung ihrer Forschung zu nutzen und finanziell zu unterstützen. CHDI finanziert auch das was, als Contract Research Organisations bekannt ist - im Wesentlichen Mietlabore - um Forschung durchzuführen, die CHDI leitet.

Dieser Ansatz hat ein großes Maß an Flexibilität zur Folge - CHDI muss keine Ressourcen aufwenden um spezialisierte Einrichtungen aufzubauen oder Jahre darauf zu verwenden, um mit neuen Technologien Schritt halten zu können. Stattdessen identifiziert man die besten Teams die schon an dem Ziel arbeiten und finanziert sie, damit sie ihre Arbeit tun können. Diese

"virtuelle" Struktur versetzt die Stiftung in die Lage sehr schnell in die Bereiche zu kommen, die sie benötigen und ebenso schnell wieder heraus. Wir haben uns gefragt, ob es sich nicht als Beschränkung herausgestellt hat, dass das Unternehmen keinen eigenen Raum für seine Forschung hat. Pacifici erklärte, dass die Politik schon immer die war, dass das Unternehmen ein Labor gebaut hätte, wenn CHDI mit dem was es tun wollte an eine Grenze gestoßen wäre. Das ist allerdings bisher nicht passiert und es sieht momentan auch nicht danach aus.

CHDI und die spezifischen Herausforderungen der Huntington Krankheit

CHDI hat also eine einzigartige Struktur. Wie passt diese in die Huntington Gemeinschaft? Dominguez und Muñoz-Sanjuan sind sich einig, dass die enge Verbindung zwischen Huntington Familien, Forschern und Klinikern ein wahrhaft einzigartiger und essentieller Bestandteil der Huntington Forschung ist. Wie Pacifici sagt, bedeutet das " wir vergessen niemals, warum wir das machen". Es ist deutlich dass die Wirkungen der Huntingtonkrankheit auf die Familien auch auf diese Wissenschaftler abgefärbt haben. Pacifici ist der Meinung " wenn sie ein leeres Blatt Papier haben und versuchen wollten die schrecklichste Krankheit zu entwerfen..würde es ihnen sehr schwer fallen etwas Schlimmeres als Huntington zu designen". Obwohl sich die Familien, die von Huntington betroffen sind, in dieser schrecklichen Situation befinden, hat Pacifici das Gefühl dass das wissenschaftlich gesehen etwas Positives hat:" Das ist die schlechte Nachricht. Die gute Nachricht ist, dass es dieses Gefühl gibt, dass es sich um ein sehr schwieriges aber lösbares Problem handelt und damit ist es für sehr intelligente Leute interessant...wir werden es schaffen."

CHDI's Medikamentenentwicklungsprogramm

Auf der Therapeutics Conference wurden häufig die Pipelines erwähnt, ein Konzept über das Pharmafirmen oft sprechen. Eine Pipeline ist nur eine Anzahl von Medikamenten an der eine Firma zu einer bestimmten Zeit arbeitet. Diese Pipeline ist organisiert von der Tatsache, dass einige der Programme schon weiter fortgeschritten (kurz vor der Durchführung von Studien an Menschen)sind als andere. Medikamenten-Jäger benutzen das Wort Ziele und meinen dabei ein Gen oder Protein dessen Aktivität bei Huntington von Bedeutung ist, damit ist es also ein 'Ziel' bei der Entwicklung eines Medikamentes.

Warum braucht man eine Pipeline - warum nutzt man nicht alle Ressourcen für das Medikament von dem man sich am meisten verspricht? Pacifici: "Leider ist der Entwicklungsprozess eines Medikamentes unglaublich ineffektiv. Man will nicht in der Situation enden, wo man nur einen einzigen Trick auf Lager hat."

Dadurch dass man eine Vielfalt an Projekten laufen hat, die auf verschiedenen Aspekte der Krankheit abzielen wird die Chance einen erfolgreichen Einfluss auf die Krankheit zu



Robert Pacifici: Die von Huntington betroffenen

haben größer. Pacifici weist auch daraufhin, "man will unterschiedliche Möglichkeiten im Lauf der Zeit anbieten können. Vielleicht wird in 20 Jahren eine 'Heilung' gefunden, aber was machen wir jetzt mit den Betroffenen? Wir brauchen etwas, was wir auf kurze Sicht anbieten können".

Menschen helfen der Forschung am meisten indem sie sich für die Studie, für die sie qualifiziert sind registrieren lassen
Quelle: Lev Blumenstein

CHDI arbeitet also an einer Pipeline an Medikamenten die in verschiedenen Entwicklungsstadien sind. Wir stellten uns die, Frage wie groß dieser Einsatz ist und erkundigten uns bei CHDI wie sich ihre Bestrebungen bei Huntingtonkrankheit von den Tätigkeiten kommerzieller Pharmafirmen, die versuchen andere Krankheiten zu heilen, unterscheiden.

"Wir geben mehr für Huntington aus als ein großes pharmazeutisches Unternehmen für Neurowissenschaft", sagt Pacifici.

Das ist umso bemerkenswerter angesichts der Tatsache, wie selten Huntington im Vergleich zu Krankheiten wie Alzheimer ist, die weitaus größere potentielle Märkte haben.

Um nur eine Vorstellung des Rahmens zu geben: CHDI fokussiert wahrscheinlich mehr Ressourcen auf Huntington als alle anderen Organisationen zusammengenommen. Aber wie sieht das im Einzelnen aus. Wie viele verschiedene Programme kann diese kleine Organisation zu einer Zeit stemmen. Laut Pacifici, Dominguez und Muñoz-Sanjuan, hat CHDI zu jeder Zeit ungefähr 10 Programme zur Medikamententwicklung gleichzeitig laufen - bei jedem Programm werden typischerweise Dutzende potentieller Wege untersucht ein besonderes Ziel zu treffen.

Wir fragten uns, ob das immer die gleichen Programme sind? "Nein", sagt Pacifici, "die Programme werden nach den letzten Erkenntnissen gnadenlos priorisiert." Eines der wesentlichen Unterschiede zwischen einem traditionellen wissenschaftlichen Forscher und einem Medikamenten Jäger ist die Mentalität, etwas zu bewahren sondern es zu zerstören. Oder aber, wie Dominguez, es ausdrückt: "Ich will es zerstören. Sollte es aber überleben, ist es wertvoll". Pacifici vermutet dass mehr als die Hälfte der Ziele die bei CHDI in der Pipeline waren auf dieser Basis "zerstört" worden sind.

Das mag brutal klingen, bedeutet aber dass CHDI nicht an einem Medikament dran bleibt, sei es um des Prestiges willen, weil es das Medikament als erstes entdeckt hat oder das Unternehmen möglicherweise damit Geld machen kann, indem es damit andere Krankheit, wie die Parkinsons Krankheit oder Fettleibigkeit behandelt. Letztendlich wollen Sie den Menschen nur die Medikamente geben, die bei Huntington wirken. Dadurch, dass sie alles dafür tun, um zu beweisen, dass ein bestimmtes Medikament, dass sie entwickelt haben nicht wirkt, haben diejenigen die überleben wirklich einiges überstanden.

Die Bedeutung wissenschaftlicher Forschung

„ Es handelt sich um sehr schwieriges aber lösbares Problem und

Wir wandten unsere Aufmerksamkeit weg von der Grundlagenforschung zu der Idee, wie denn Medikamente an Menschen getestet werden und befragten CHDI nach der Forschung am Menschen.

damit ist es für sehr intelligente Leute interessant...wir werden es schaffen



Angeregt von HDBuzz Leserin Michaela aus Deutschland fragten wir: Was können Patienten und junge Leute mit dem Risiko an Huntington zu erkranken tun, um CHDI bei seinen Bemühungen Medikamente zu finden, zu unterstützen?“ Pacifici antwortete, dass alle Betroffenen sich "für jede einzelne Studie, für die sie sich qualifizieren, registrieren können." Und er fügt hinzu:“ Es gibt für einen Medikamentenjäger nichts Wertvolleres als die Beobachtung, die an den Patienten gemacht hat, die wir behandeln möchten”.

Macht es wirklich etwas aus, ob eine Person an einer Studie teilnimmt oder nicht" fragten wir. Muñoz-Sanjuan und Dominguez antworteten sofort und nachdrücklich "JA!" Pacifici erklärte, dass alle Studien das haben, was man als Ein- und Ausschlusskriterien bezeichnet. Das sind Regeln wie zum Beispiel, dass 'Menschen mit hohem Blutdruck' nicht an dieser Studie teilnehmen können oder 'diese Studie ist für Patienten mit einem CAG Repeat zwischen 42 und 50'. Diese Kriterien sind essentiell, um die Studie effektiv durchführen zu können, aber sie limitieren den potentiellen Pool für die Rekrutierung zu jeder Studie. Hat man das größtmögliche Angebot an freiwilligen Patienten, können zukünftige Studien, sei es bei CHDI oder einer anderen Firma, mit Höchstgeschwindigkeit rekrutiert und durchgeführt werden. Und wir haben schneller effektive Medikamente für Huntington.

Abschlussgedanken

CHDI ist für Huntingtonfamilien unglaublich spannend. Das Unternehmen hat einige der besten Leute die im Bereich der Medikamentenentwicklung tätig sind angeheuert, die sich ausschließlich auf Huntington konzentrieren und auf ein riesiges Netzwerk an Top Mitarbeitern auf der ganzen Welt zurückgreifen können.

Genauso wichtig ist, dass es da ein Feuer gibt, das in den Augen der Wissenschaftler brennt, die Mitglieder aus Huntington Familien getroffen haben und von der verlockenden Idee besessen sind, dass effektive Medikamente, die das Leiden bei Huntington reduzieren können in Reichweite sind - und das es für sie eine wertvolle und erfüllende Aufgabe ist, ihre Zeit und ihr Wissen darauf verwenden, auf diese hinzuwirken. Wir haben das Feuer in den Augen dieser Wissenschaftler gesehen und wir sind guter Hoffnung, dass einige der Programme, über die sie bei diesem Meeting gesprochen haben, schnell voranschreiten und zu Medikamenten für die von Huntington betroffenen Familien werden.

Dr Carroll und Dr Wild haben Forschung im Bereich der Huntingtonkrankheit mit finanzieller Unterstützung von CHDI durchgeführt aber darüber hinaus kein Honorar erhalten. Ihre Teilnahme an der CHDI Konferenz wird vom Europäischen Huntingtonnetzwerk unterstützt, einem unabhängigen Netzwerk, von professionellen Mitarbeitern im Bereich der HK Forschung

und aus finanziellen Mitteln die von CHDI absolut unabhängig sind. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...

© HDBuzz 2011-2018. 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 21. Januar 2018 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/020>