

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

## **Interview: Graeme Bilbe, globaler Chef für Neurowissenschaften bei Novartis**



HDBuzz interviewt Graeme Bilbe, globaler Chef für Neurowissenschaften des Pharmariesen Novartis, über deren HK Forsch

Von Dr Ed Wild am 1. Februar 2012

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll; Übersetzt von Michaela Grein

Ursprünglich veröffentlicht am 14. März 2011

---

*Novartis, eines der größten pharmazeutischen Unternehmen der Welt, hat in den letzten fünf Jahren an Behandlungen für die Huntington Krankheit gearbeitet. HDBuzz interviewte Graeme Bilbe, den globalen Chef für Neurowissenschaften bei Novartis, um mehr über deren Fortschritt herauszufinden.*

## **Pharma-Unternehmen kümmern sich nicht um die Huntington Krankheit, richtig?**

Fragt man irgendeinen Wissenschaftler, der regelmäßig an Konferenzen der Huntington Krankheit teilnimmt, hört man von dem einzigartigen Geist der Mitarbeit und Zusammenarbeit der globalen Gemeinschaft der Huntington Forschung und von den engen Beziehungen zwischen den Huntington Familien, den Medizinern und den Wissenschaftlern, die daran arbeiten, Behandlungen zu finden.

Die Beteiligung der Pharmaindustrie an der Erforschung der Huntington Krankheit ist jedoch historisch gesehen gering. Arzneifirmen haben etwas den Ruf erlangt, hauptsächlich an häufig verbreiteten Krankheiten interessiert zu sein, die am lukrativsten sind. Es gibt sogar einen Namen 'verwaiste Krankheiten' - für die Krankheiten, die so selten sind, dass es für Arzneifirmen finanziell nicht sinnvoll ist an ihnen zu arbeiten.

In den vergangenen Jahren begann sich dies für Huntington Krankheit zu ändern. Pharmazeutische Unternehmen werden in zunehmendem Maße an der Huntington Krankheit interessiert und einige haben damit angefangen, umfangreiche Mittel aufzubringen, um Behandlungen zu entwickeln. Eine solche Firma ist Novartis - das fünftgrößte Pharma-Unternehmen der Welt und nach Ansicht von Eingeweihten das Beste im Produzieren



Graeme Bilbe, Globaler Chef für Neurolwissenschaften bei Novartis

erfolgreicher neuer Medikamente. Novartis hat ein Team an Wissenschaftlern, die seit nunmehr fünf Jahren an der Huntington Krankheit arbeiten und wie man nun sieht, haben sie eindrucksvolle Fortschritte gemacht.

Auf der letzten CHDI Therapeuten Konferenz in Palm Springs traf HDBuzz Novartis' globalen Chef der Neurowissenschaften, Dr. Graeme Bilbe, um etwas über Novartis' Forschungsprogramm der Huntington Krankheit herausfinden.

## **Warum arbeitet Novartis an der Huntington Krankheit?**

Wir starteten mit der Frage an Bilbe, warum Novartis in die Forschung der Huntington Krankheit kam, wenn es finanziell gesehen vernünftiger erscheint, an häufiger verbreiteten Gehirnerkrankungen zu arbeiten. Degenerative Gehirnerkrankungen wie die Huntington Krankheit und Alzheimer, antwortete er, sind alle "chronisch, sie sind langsam, sie sind wirklich hart", das macht sie teuer zu studieren und schwierig zu behandeln. Zusätzlich schlagen die meisten dieser Krankheiten zufällig zu: "Wir wissen nicht wirklich, wer die Patienten sind, die wir behandeln werden". Somit ist es um so schwieriger, Medikamente zur Behandlung zu entwickeln. Nach einer langen Zeit des Forschens, empfindet die Pharmaindustrie das Arbeiten mit degenerativen Gehirnerkrankungen als sehr frustrierend, mit Millionen von betroffenen Menschen und sehr wenig Erfolg.

Die Huntington Krankheit ist anders, sagt Bilbe. Weil wir genau wissen, welche genetische Veränderung die Huntington Krankheit verursacht, "wir glauben, dass wir es entgegen aller Wahrscheinlichkeit schaffen können. Wir wissen, wer die Patienten sind, und das macht den ganzen Prozess der Medikamentenentdeckung, wie man die Medikamente testet und an welchen Patienten sie funktionieren sollten, viel berechenbarer."

Den Wert des genetischen Problems hinter der Huntington Krankheit zu kennen reicht für Novartis nicht aus. "Um eine Krankheit zu verstehen, muss man den biologischen Mechanismus der Krankheit verstehen" sagt Bilbe, dessen Philosophie einfach ist, wenn es um die Entwicklung von Medikamenten geht. "Unsere Strategie zur Annäherung an eine Krankheit ist Gen - Weg - Patient." Zu wissen welches Gen die Huntington Krankheit verursacht ist ein sehr großer Vorsprung, sagt er. "Wir haben hier ein Gen - wir versuchen genau herauszuarbeiten, was es macht, wir wollen seinen Weg, seinen Tätigkeitsmechanismus kennen lernen - wie es die Zellen und dann den Organismus beschädigt." Von dort können Forscher die viel versprechenden 'Ziele' identifizieren - einzelne Schritte in dem Weg vom Gen zum Patienten, den das Medikament in der Lage sein könnte zu verändern.

## **Das Huntington Programm von Novartis**

Mit Blick auf das Besondere fragten wir Bilbe, welche Ziele Novartis als am viel versprechendsten betrachtet. "Wir glauben, dass die Krankheit an der Ansammlung eines mutierten Proteins liegt" antwortete er "so ist der direkteste

” Wir haben drei Ansätze und einer davon, hoffe ich, wird dieses Jahr in eine klinische Studie starten

Weg, mit einem Medikament herzukommen, dass das Protein entfernt.“ Der Hauptfokus seines Teams ist Medikamente zu entwickeln, welche die natürliche Fähigkeit der Zellen erhöhen, das schädliche Protein loszuwerden.



Wie geht es Novartis nach fünf Jahren? “Wir sind bereits dabei unsere Medikamente für Bewegungen in der Huntington Krankheit zu testen ‘AFQ056’. Für Krankheitsverlangsamende Behandlungen haben wir drei Ansätze” sagt er “und einer davon hoffe ich wird es in diesem Jahr in eine klinische Studie schaffen. Also in Bezug auf die Medikamentenentdeckung bin ich sehr erfreut, dass wir innerhalb von fünf Jahren etwas erhielten, das in Studien an Patienten gelangen wird.”

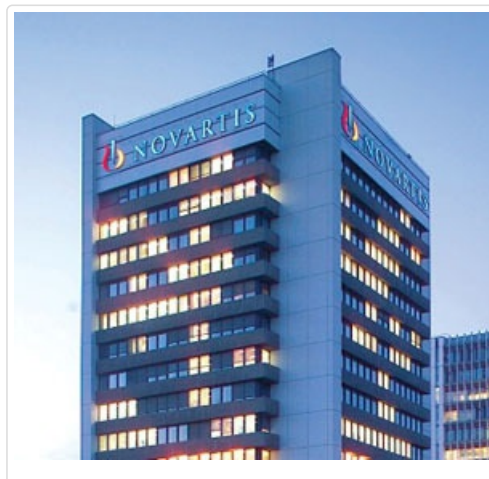
Fünf Jahre könnten wie eine lange Zeit klingen, aber aus Bilbe’s Erfahrung in der Entwicklung neuer Medikamente ist dies recht wenig. Um zu einer erfolgreichen Behandlung zu gelangen sagt er “muss man normalerweise seit 10 Jahren im Geschäft sein oder sogar länger. Es dauert eine sehr lange Zeit, dies zu erreichen. Es erfordert Ausdauer und weit reichende Visionen. Dies sind noch die Kinderschuhe, aber wir sind hoffnungsvoll”

Die Entwicklung neuer Medikamente ist nicht billig und eine wichtige Sache, die Arzneifirmen dem Kreis der Betroffenen einer Krankheit geben können, sind die sehr großen Voraus-Investitionen, die benötigt werden, um Behandlungen Wirklichkeit werden zu lassen.“Um neue Medikamente zu entwickeln, spricht man über eine Milliarde Dollar an Möglichkeiten bevor man eine findet, die wirklich die Apotheke erreicht.”

## **Warum ist das Herstellen von Medikamenten so schwer?**

Der Prozess ist so teuer, sagt Bilbe, aufgrund dessen, was er “Verschleiß” nennt. Das bedeutet dass die überwiegende Mehrheit der Ideen, die während ihrer Erforschung zunächst viel versprechend klingen, nicht zu Medikamenten heranreifen, die funktionieren. “Sie könnten mit Zehntausend Ideen starten und vermutlich an einhundert dieser Ideen arbeiten. Bis man zu Studien an Menschen gelangt, sollten diese einhundert Ideen in einhundert Medikamente überführt werden - konnten sie aber nicht - man kommt auf zwei oder drei Medikamente, von denen es eines zum Markt der Patienten schafft. Jeder Erfolg zahlt für all die Versuche, die fehlschlagen.”

Warum schlagen viele gute Ideen fehl, zu einer medikamentösen Behandlung zu führen? Viele Dinge können fehlschlagen, sagt Bilbe, weil Krankheiten wie die Huntington Krankheit so kompliziert sind. Manchmal stellt sich ein viel versprechendes Ziel bei eingehenderem Studium als nicht so wichtig heraus wie zuerst gedacht wurde. Einige Ziele beweisen sich als unmöglich zu ‘treffen’ mit einem Medikament egal wie sorgfältig das Medikament entworfen wurde. Manchmal funktionieren Medikamente im Labor, aber haben eine unerwartet schwache Wirkung,



wenn sie in Tieren oder an Menschen getestet werden, entweder funktionieren sie gar nicht oder verursachen schlechte Nebenwirkungen. “Diese Verschleißraten ändern sich, weil wir besser werden in dem was wir machen” beharrt Bilbe, aufgrund der neuen Konzepte wie sein ‘Gen, Weg, Patient’ Modell.

## Novartis und die Huntington Gemeinschaft

Mit dieser ganzen Investition ist es einfach sich vorzustellen, dass Novartis isoliert arbeitet, aber die Wirklichkeit ist ganz anders. Bilbe’s Team erkennt den enormen Fortschritt, den die globale akademische Forschungsgemeinschaft der Huntington Krankheit gemacht hat, und das Zusammenarbeiten mit vorhandenen Experten ist ein zentraler Punkt in Novartis’ Annäherung an die Huntington Krankheit. “Wir versuchen mit den Spitzen der klinischen akademischen Forschungsgruppen in der Welt zu arbeiten” sagt er. Partnerschaften wie die zwischen Akademikern und Forschern der Industrie sind wesentlich für die meisten neuen Medikamentenentdeckungen.

Die Zusammenarbeit funktioniert in beiden Richtungen und Novartis hat bereits versprochen, einen seiner bekanntesten Erfolge mit der gesamten Huntington Gemeinschaft zu teilen - ein Laborversuch, der ermöglicht das Niveau des durch Mutation entstandenen Huntingtin Proteins zum ersten Mal direkt zu messen. Bilbe übertreibt die Dinge nicht, wenn er den Test als “eine Wasserscheide in diesem Geschäft” beschreibt, denn zu wissen, wie viel schädliches Protein sich ansammelt wird, ist wesentlich für die Messung des Erfolges von Behandlungen, um es zu entfernen.

Mit der globalen Gemeinschaft der Huntington Krankheit im Hinterkopf, wollten wir nach Bilbe’s Erfahrung der erfolgreichen Medikamentenentwicklung fragen, was seiner Meinung nach die Huntington Patienten und ihre Familien machen könnten, um dabei zu helfen, einer Behandlung näher zu kommen. “Wir müssen Bewusstsein schaffen, das wir wirklich entwicklungsfähige Chancen haben, um Heilungen für diese Krankheit zu finden” antwortete er. “Die Gemeinschaft muss darauf vorbereitet werden, dass einige davon enttäuschend sein werden, einige werden ‘vielleichts’ sein und ein oder zwei davon könnten sich als gut herausstellen. Wir müssen realistisch sein. Es wird Herausforderungen in der klinischen Entwicklung eines Medikamentes geben. Ohne diese Enttäuschungen werden wir nicht lernen.”

## Die Zukunft

Für all seinen nüchternen Realismus bleibt Bilbe heiter euphorisch über die Chancen der Huntington Forscher aus der Wissenschaft und aus der Industrie, um erfolgreiche Behandlungen zu finden, um das Leben der von der Huntington Krankheit betroffenen Menschen zu verbessern. “Wir müssen sehr hohe Berge erklimmen” gibt er zu, “und wir werden vermutlich währenddessen Enttäuschungen erleben. Um optimistisch zu sein, müssen wir zuerst realistisch sein, dann hat man eine Wahl. Sobald man Realismus und Optionen hat, kann man anfangen, auf Erfolg zu hoffen.”

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

---

## **Glossar**

**Klinische Studie** Sehr sorgfältig geplante Experimente werden entwickelt, um spezifische Fragen zu beantworten, wie ein Medikament sich auf den Menschen auswirkt.

---

© 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](http://hdbuzz.net)

Erstellt am 20. Januar 2018 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/022>