

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

## Prana Biotech's neue Studie von PBT2 bei der Huntington Krankheit: die Fakten



Prana Biotech's PBT2 Studie bei der HK: was wir bisher wissen & und was Kupfer mit dem veränderten Protein zu tun hat

Von Dr Ed Wild am 1. Februar 2012

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll; Übersetzt von Michaela Grein

Ursprünglich veröffentlicht am 3. Oktober 2011

---

*Prana Biotech hat eine Phase 2 klinische Studie an Huntington Patienten in Australien und in den USA angekündigt. Es folgt, was wir bis jetzt über die Studie, die Firma, das Medikament und die Freundschaft zwischen Kupfer und dem mutierten Huntingtin Protein wissen.*

### PBT2 Klinische Studie angekündigt

Eine neue internationale klinische Studie eines Medikamentes, das den Fortschritt der Huntington Krankheit verlangsamen könnte, ist vorherbestimmt, um Aufregung zu verursachen. Wenn sich der Start der Studie mit der Eröffnung des Huntington Weltkongresses überschneidet und wenn die Firma hinter der Studie in der Stadt ansässig ist, die den Kongress veranstaltet, dann sind Schlagzeilen die sichere Folge.

So können Sie bereits davon gehört haben, dass das Medikament **PBT2** von **Prana Biotech** in einer internationalen klinischen Studie getestet werden wird, die Ende 2011 in Australien und in den USA beginnen wird. Wir sind hier, um Ihnen so viele Details wie möglich über die Studie und das Medikament zu geben, sowie um die Hinweise, dass PBT2 bei der Huntington Krankheit funktionieren könnte, zu durchleuchten.



Nein, nicht 'Copper' (Kupfer) im Sinne von 'Bulle'.

### Die Studie

Medikamentenstudien an Menschen werden in drei Phasen unterteilt.

In **Phase 1** wird gesunden Freiwilligen ein Medikament zum ersten Mal gegeben. In **Phase 2** wird das Medikament zum ersten Mal Patienten mit Symptomen verabreicht, aber das Hauptziel ist, zu überprüfen ob es sicher ist und Dinge nicht verschlechtert. Studien der **Phase 3** sind viel größer und beziehen viele hunderte Freiwillige mit ein, und zielen darauf ab, den Beweis zu erbringen, der erforderlich ist, damit ein Medikament zugelassen wird.

Prana's PBT2 Studie bei der Huntington Krankheit ist eine Studie der **Phase 2** - also ist sie insgesamt ziemlich klein und bezieht einhundert Freiwillige mit ein. In einer Pressemitteilung sagt die Firma, dass sie darauf abzielt, ungefähr **15 Standorte** in Australien und in den USA mit einzubeziehen - das bedeutet im Durchschnitt sechs bis sieben Freiwillige pro Standort. Die Studie bezieht Menschen mit der 'frühen' Huntington Krankheit mit ein. Im Allgemeinen bedeutet dies Menschen, die Huntington Symptome wie unwillkürliche Bewegungen haben, die ziemlich mild sind und sie nicht daran hindern zu gehen, zu arbeiten oder zu Hause arbeitsfähig zu sein.

Jeder frühe Huntington Freiwillige wird für **sechs Monate** eingeschrieben, aber weil die Firma noch nicht den vollständigen Studienentwurf bekannt gegeben hat, können wir Ihnen nicht sagen, wie vielen Freiwilligen das Medikament gegeben werden wird und wie viele zum Vergleich ein Placebo erhalten, also kein Medikament. Weder wissen wir, welche Tests durchgeführt werden, um den Effekt des Medikamentes zu bewerten, noch ob die Studie Dinge wie MRT Gehirnaufnahmen mit einbeziehen wird.

Zudem ist unbekannt, welche Standorte für die Studie in Australien und in den USA ausgewählt werden, aber das Massachusetts General Hospital in Boston, USA und die Johns Hopkins University in Baltimore wurden als Partner bestätigt. Angesichts der lokalen Verbindung von Prana, werden wir überrascht sein, falls Melbourne nicht ebenfalls als australischer Standort einbezogen wird.

Die Firma hat angekündigt, dass die Ergebnisse bis **Ende 2013** erwartet werden.

Weil es eine Studie der Phase 2 ist, sind die Hauptziele sicherzustellen, dass das Medikament 'sicher und gut verträglich' ist - mit anderen Worten, dass es keine Verschlechterung der Symptome oder irgendwelche unerwarteten Nebenwirkungen verursacht und um sich auf die beste Dosis für eine größere Studie der Phase 3 festzulegen. Aber die Firma wird ebenfalls hoffen, dass die Studie der Phase 2 Anzeichen liefert, dass PBT2 die Krankheit in der korrekten Richtung verändern kann, um Vertrauen darin zu schaffen, mit einer teuren Studie der Phase 3 fortzufahren.

## Die Firma

Prana Biotech ist ein verhältnismäßig kleines Pharma-Unternehmen, das 1997 in Melbourne gegründet wurde. In der hinduistischen Philosophie ist 'Prana' eine starke, geheimnisvolle Kraft, die das Leben erhält. Prana's Forschung ist bodenständiger: sie konzentriert sich auf das Zusammenspiel zwischen Proteinen - den molekularen Maschinen, die die meisten wichtigen Funktionen in unseren Zellen durchführen - und Metallen.

Die Idee, dass unsere Körper sich auf Metalle stützt, könnte seltsam klingen, aber spätestens seit Popeye sind wir alle damit vertraut, dass Eisen für die Gesundheit essentiell ist.

” Wenn Metalle also Proteinen dabei behilflich sind Gutes zu tun, können sie dann auch zum Schaden beitragen, der durch anormale Proteine verursacht wird?

Das gleiche ist zutreffend für viele andere Metalle -  
manchmal 'Spurenelemente' genannt.



## Proteine und Metalle: unerwartete Freunde

Eisen ist ein ziemlich gutes Beispiel für ein wichtiges Zusammenspiel von Proteinen und Metallen. Unser Blut transportiert Sauerstoff aus der eingeatmeten Luft in unseren roten Blutkörperchen zu unseren Organen. Diese Zellen sind rot, weil sie ein rotes Protein enthalten, das Hämoglobin genannt wird. Aber die Fähigkeit des Hämoglobins Sauerstoff zu transportieren, beruht auf einer winzigen Menge Eisen, tief verschlossen in dem Protein. Ein Eisenmangel verursacht Anämie, die Menschen blass und kurzatmig macht, weil ihr Blut nicht genügend Sauerstoff transportieren kann.

Forscher sind sich in zunehmendem Maße bewusst, dass viele Proteine eine wenig Hilfe von Metallen benötigen, um ihre Arbeit zu erledigen. Aber wir wissen auch, dass Proteine krank werden können und Schaden verursachen. Das veränderte Huntingtin Protein, das in den Zellen der Menschen mit einem verlängerten Huntington Gen produziert wird, ist ein perfektes Beispiel, aber es gibt auch viele andere: Alzheimer und Parkinson sind Krankheiten, in denen Proteine Schaden verursachen und Klumpen namens 'Aggregate' in den Gehirnzellen bilden.

Also falls Metalle Proteinen dabei behilflich sind, Gutes zu tun, können sie dann auch zum Schaden beitragen, der durch anormale Proteine verursacht wird? In zunehmendem Maße sind Forscher dieser Meinung, und das ist die Antwort auf die Prana wettet.

## Kupfer, PBT2 und Alzheimer

Prana ist besonders interessiert an der Rolle die **Kupfer** in den schädlichen Effekten der anormalen Proteinen spielt. PBT2 wurde als Behandlung für die Alzheimer Krankheit entwickelt, in der das Protein, das den Schaden verursacht - 'Amyloid' - klebriger wird, wenn sich Kupferatome an ihm anlagern. PBT verringert die Menge des Kupfers, die am Amyloid festklebt.

In einer Studie der Phase 2 von PBT2 in 2008, die in Lancet Neurology veröffentlicht wurde, schien die Behandlung von Alzheimer Patienten mit PBT2 die Menge des Amyloid Proteins in der spinalen Flüssigkeit, die das Gehirn umgibt, zu verringern und das Medikament verursachte keine ernstesten Nebenwirkungen. Prana plant jetzt weitere Studien, um nach Effekten von PBT2 auf das Amyloid Niveau im Gehirn zu suchen und arbeitet auf eine große Studie der Phase 3 bei Alzheimer hin.

## Was ist mit der Huntington Krankheit?

Mögliche Effekte des Kupfers bei der Huntington Krankheit sind nicht so detailliert untersucht worden wie bei der Alzheimer Krankheit. Was wir jedoch wissen ist, dass Kupferablagerungen in den am schlimmsten betroffenen Gehirnregionen gefunden worden sind und dass das Huntingtin Protein einige Bereiche hat, an denen Kupferatome festkleben können.

Auf der 'International Conference on Alzheimer's Disease and Related Disorders' in 2010 stellte Prof. Robert Cherny von Prana Biotech Daten aus einer Studie von PBT2 in Huntington Mausmodellen vor. Die Tiere, denen das Medikament gegeben wurde, hatten eine verbesserte Bewegungssteuerung und lebten rund 40 % länger als unbehandelte Mäuse. Dieser Erfolg in dem Huntington Mausmodell ist die Basis für Prana's Entscheidung, eine klinische Studie an Huntington Patienten durchzuführen.



PBT2 zielt darauf ab, Kupfer daran zu hindern am Huntingtin Protein festzukleben - ein möglicher Schritt auf dem Weg der Huntington Krankheit.

## **PBT2 und Kupfer im Kontext**

Es ist erfrischend einen neuen Spieler wie Prana zu sehen, der das Feld der Huntington Forschung betritt, weil es schwierig ist, ohne Pharma-Unternehmen Behandlungen zur Verlangsamung der Huntington Krankheit zu finden und zu testen.

Weil Vorsicht eine gute Würzung für Optimismus ist, sollten ein paar Dinge über PBT2 erwähnt werden.

Während die Ergebnisse für PBT2 in den Huntington Mäusen ermutigend sind, gibt es kein Entkommen vor der Tatsache, dass bis jetzt jedes Medikament, das an einer Huntington Maus funktionierte, keinen Nutzen zeigen konnte, wenn es an Menschen ausprobiert wurde. Selbstverständlich wird das zutreffend sein, bis das erste Medikament an Patienten funktioniert - und PBT2 könnte dieses Medikament sein. Aber weil keine Maus ein vollkommenes Modell der menschlichen Huntington Krankheit ist, denken viele erfahrene Huntington Forscher jetzt, dass ein neues Medikament in mehreren unterschiedlichen Tiermodellen geprüft werden sollte, bevor man menschliche Studien unternimmt.

Mit unserem Artikel 'Zehn goldenen Regeln' zum Lesen einer Huntington Nachricht im Hinterkopf, bemerken wir auch, dass über die Ergebnisse von Prana's Huntington Mausmodell bei einer wissenschaftlichen Konferenz berichtet wurde, aber bis jetzt noch nicht in einer von Fachleuten begutachteten wissenschaftlichen Zeitschrift veröffentlicht worden sind - wo sie genauer von den unabhängigen Experten untersucht werden, bevor der Artikel angenommen wird.

Schließlich verstehen wir, dass jeder mit Huntington oder dem Risiko wissen will, was sie jetzt tun können, um ihrem Gehirn die besten Kampfaussichten zu gewähren. Aber wir wollen unterstreichen, dass falls Kupfer bei Huntington eine Rolle spielt, es nicht deshalb ist, weil es zu viel Kupfer im Gehirn oder im Körper insgesamt gibt. Also gibt es keinen Grund zu glauben, dass das Einschränken von Kupfer in der Diät oder Nahrungsergänzungen zu nehmen, um Kupfer zu entfernen, für Menschen mit der Huntington Veränderung vorteilhaft sein würde.

Mit diesen Warnungen im Hinterkopf, freuen wir uns darauf, in Zukunft weitere Einzelheiten über die Studie zu hören und wir werden Sie über alle größeren Entwicklungen auf dem Laufenden halten.

---

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.

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

**Placebo** Ein Placebo ist ein Scheinmedikament, das keine Wirkstoffe enthält. Der Placeboeffekt ist ein psychologischer Effekt, der verursacht, dass sich Menschen besser fühlen, auch wenn sie eine Tablette einnehmen, die nicht wirkt.

**Amyloid** Das Hauptprotein, das sich in den Gehirnen der Alzheimer-Patienten aufbaut

---

© 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 12. Juli 2017 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/051>