

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

2011 - ein Jahr in der Huntington Forschung



Rückblick auf ein Jahr der Huntington Forschung - und dem ersten Jahr von HDBuzz
Von Dr Ed Wild am 26. Februar 2012
Bearbeitet von Dr Jeff Carroll; Übersetzt von Martina Merkle
Ursprünglich veröffentlicht am 31. Dezember 2011

2011 war ein Jahr grosser Ereignisse und die Welt der Huntington Krankheit war keine Ausnahme. Angefangen davon dass HDBuzz ans Netz ging und die globale Huntington Gemeinschaft weiter anwächst bis hin zu einem faszinierenden Fortschritt bei der Grundlagenwissenschaft und der Gewissheit das effektive Therapien so greifbar sind wie nie zuvor. Unser 2011 Review blickt zurück und - nach vorne.

HDBuzz im ersten Jahr

Als wir am 17. Januar 2011 HDBuzz gestartet hatten, hatten wir einige Zweifel, ob jemand an unserer Internetseite Interesse zeigen würde. Aber die Rückmeldungen der Leser die uns direkt erreichten, zeigten, dass wir mit dieser Annahme ganz falsch lagen, dass wir nämlich vielmehr das Bedürfnis nach zuverlässiger und verständlicher Information aus der Huntingtonforschung total unterschätzt hatten. Die Emails die wir erhalten und der persönliche Austausch mit den Lesern sind immer wieder eine Quelle der Inspiration, die uns die Kraft gibt weiterzumachen.

HDBuzz kommt sehr gut an. Zu dem ursprünglich aus 3 Familienorganisationen bestehenden Gründerkonsortium sind im Jahre 2011 9 weitere hinzugekommen. HDBuzz wurde mit dem Ziel gegründet führend bei der Vermittlung von aktuellen Nachrichten aus der Huntingtonforschung zu sein und syndizierte Nachrichten an 19 bedeutende Huntington webseiten zu vermitteln. Im September war die innovative Art und Weise wie bei HDBuzz wissenschaftliche Information kommuniziert wird Thema eines Leitartikels bei dem bekannten wissenschaftlichen Journal 'Trends in Molekular Medicine'.

Dank eines globalen Teams von 55 freiwilligen Übersetzern (Danke Leute -ihr rockt!) sind unsere Artikel nun in 10 Sprachen verfügbar - und es sind weitere auf dem Weg.

(Um die gewünschte Sprache einzustellen klicken Sie einfachen oben rechts auf das Globus-Symbol auf jeder beliebigen Seite von HDBuzz.net)



Mit ein bisschen Glück wird es im Jahr 2012 eine Studie zu einem Medikament zur Gen Stilllegung bei menschlichen Huntington-Patienten geben.

Sie sind in guter Gesellschaft, wenn Sie unsere Seite lesen. Die HDBuzz Webseite hat monatlich zwischen 60 bis 700000 Besucher und über 2200 Leute verfolgen die Neuigkeiten per Email, Twitter und Facebook.

Was erwartet uns in der Zukunft?

Der Erfolg von HDBuzz im Jahre 2011 hat uns davon überzeugt, dass wir mit dem Projekt auf unbegrenzte Weise weitermachen wollen. Unsere 3 Partner die uns im wesentlichen finanziell unterstützen, die amerikanische und kanadische Huntingtongesellschaft und die

Huntingtonvereinigung England & Wales, haben sich alle dazu bereit erklärt uns im Jahr 2012 und darüber hinaus die finanziellen Mittel bereitzustellen. Wir sind gespannt auf die Neuigkeiten, die und im Hinblick auf weitere Unterstützung Anfang 2012 erwartet.

Die Forschungspipeline

Eines der Hauptziele von HDBuzz ist es ein gesteigertes Interesse zu wecken wie neue Medikamente entwickelt und zugelassen werden. Das Bewusstsein dafür, dass eine grosse Anzahl an Behandlungsmethoden in der Pipeline sind - sei es noch in der frühen Entwicklungsphase oder bereits schon Teil der Studie an menschlichen Patienten-kann die Frustration bekämpfen, die Huntington Patienten oft angesichts der mangelnden Effektivität von Behandlungsmethoden empfinden oder der Enttäuschung weil ein bestimmtes Medikament keine Wirkung gezeigt hat

Die Jahreskonferenz von CHDI im Februar war eine gute Gelegenheit, das hervorzuheben. Auf HDBuzz wurden tagesaktuelle Nachrichten und Interviews im Rahmen der Konferenz veröffentlicht. Wir sind von der Vielfältigkeit der Behandlungsmethoden in allen Entwicklungsstadien beeindruckt, insbesondere von der Arbeit der Chemiker, den Leuten die das Medikament so 'designen'dass es sicher ein spezifisches Ziel trifft. Die Konferenz erinnert uns auch daran das die besten Wissenschaftler der Welt unermüdlich zusammen arbeiten um Huntington zu bekämpfen.

Das Jahr im Rückblick auf klinische Studie

Es war ein gemischtes Jahr sieht man sich die Neuigkeiten bei den klinischen Studien an. Grosse Studien zu 2 Medikamenten - **Minocycline** and **Dimebon** die als potentielle Behandlungen um den Krankheitsverlauf zu verzögern getestet wurden haben keinen Erfolg gezeigt und die Entwicklung beider Medikament wurde gestoppt. Wir hätten uns natürlich lieber von positiven Ergebnissen aus diesen Studien berichtet aber sie erlauben uns auch eine unsere Lieblingsbotschaften zu wiederholen: Die Wissenschaft steigert sich, sie strebt immer weiter. Diese negativen Studienergebnisse helfen uns dabei den Fokus bei unserem Bestreben darauf zu setzen bessere Medikamente zu entwickeln und in der Zwischenzeit haben sie den Forschern schon dabei geholfen eine effektive Infrastruktur zur Durchführung der Studien zu entwickeln.

2011 war ein ereignisreiches Jahr für das Unternehmen NeuroSearch und die Entwicklung des Medikamentes **Huntexil** (auch unter dem Namen ACR16 und Pridopidin bekannt) das die motorischen Symptome bei der Huntington Krankheit beeinflussen sollte. Die Ergebnisse aus 2 klinischen Studien MermaiHD in Europa und HART in den USA - zeigten nur einen grenzwertigen Effekt bei der Verbesserung der bewussten Motorfunktion. Im Sommer teilten die europäischen und amerikanischen Arzneimittelbehörden NeuroSearch mit dass das Unternehmen eine weitere grosse ('Phase 3') Studie durchführen muss. Erst danach werden die Behörden eine Entscheidung über eine Zulassung des Medikamentes treffen. Im Herbst erfolgte bei NeuroSearch eine Umstrukturierung, um den Fokus aller Bestrebungen des Unternehmens auf die Entwicklung von Huntexil auszurichten und wir warten jetzt mit Spannung auf die geplante Studie. Im Februar hatten wir ein Interview mit dem globalen Chef für Neurowissenschaften bei Novartis und wir waren von der Arbeit des Forschungsteams im Bereich der Huntingtonkrankheit wirklich sehr beeindruckt. Im November kam die enttäuschende Nachricht dass sich Novartis dazu entschlossen hat, sein neurowissenschaftliches Forschungszentrum in der Schweiz zu schliessen. So schade das auch ist, können wir uns aber doch mit der Tatsache trösten, dass das Forschungsteam von Novartis in Massachusetts weiter arbeitet. Die Arbeit des Unternehmens hat uns zweifellos um einen grossen Schritt weitergebracht und wird uns auch weiter bei der Suche nach neuen Behandlungsmöglichkeiten helfen.

Neue Medikamente am Start

Mitglieder aus Huntington Familien sagen häufig, dass ihnen schon 20 Jahre lang gesagt wird, dass es in 5 Jahren neue Medikamente zur Behandlung der Krankheit geben wird. Die Geschwindigkeit wissenschaftlichen Fortschrittes kann enttäuschend langsam sein aber der Huntington Weltkongress im September (den Sie über die OzBuzz Berichterstattung mitverfolgen konnten) hat daran erinnert, dass viele Medikamente bereits getestet wurden oder in den nächsten Jahren Teil einer Studie sein werden. Fragen Sie 100 Huntington Forscher was sie als den wichtigsten therapeutischen Ansatz bei der Behandlung der Krankheit ansehen, werden wohl die meisten das Gen Silencing (Stillegen von Genen) nennen. Das Gen Silencing ist bei der Huntington Krankheit so etwa als würde man den Wasserhahn bei einem überlaufenden Bad zudrehen. Die Gen Silencing Moleküle fangen gewissermassen die Botenmoleküle ab, die den Zellen sagen, dass sie das schädliche Huntingtinprotein herstellen sollen. Die Hoffnung ist, dass eine Stilllegung des Gens auf diese Art und Weise den Schaden verhindert und den Zellen dabei hilft, sich zu erholen.



Die HK Pipeline enthält viele mögliche Therapien in allen Entwicklungsstadien.

2001 - ein grosses Jahr für die Forschung im Bereich Gen Silencing

Mehrere Forschungsteams haben bereits Behandlungserfolge bei Huntington Nagetieren verkündet. Die Behandlung verzögert nicht nur den Verlauf der Krankheit, den Erkrankten geht

es sogar besser. Im Oktober haben wir berichtet dass ein Versuch das mutierte Gen auszuschalten und dabei die gesunde Kopie nicht anzutasten bei Mäusen funktioniert hat. Jetzt konnten 3 Forschergruppen von erfolgreichen Sicherheitsstudien an Primaten berichten, was ein bedeutender Schritt ist, damit klinische Studien an menschlichen Probanden beginnen können. Mit ein bisschen Glück wird zumindest eine davon vor Beginn des Jahres 2012 beginnen.

Neben dem Gen Silencing gibt es eine Vielzahl von Medikamenten die bereits in Studien sind oder bald getestet werden. Das EU Paddington Projekt sieht sich den **Sirtuin-1 Inhibitor** in verschiedenen Zentren Europas an (wir veröffentlichen demnächst einen HDBuzz Artikel zu Sirtuinen) Pfizer und andere arbeiten an Phosphodiesterase-Hemmer, die die Verschaltung der Synapsen, d.h. die Verbindungen zwischen den Neuronen verbessern könnten. Prana Biotech hat vor kurzem eine Phase 2 Studie des mit Kupferatomen interagierenden Medikamentes **PBT2** in Australien und den USA angekündigt. Und mehrere andere HK Studien sind in Planung.

Diese Entwicklungen hinsichtlich neuer Behandlungsmöglichkeiten spielen sich auf dem Hintergrund einer globalen Huntington Gemeinschaft ab, die grösser und besser organisiert ist, wie je zuvor. Dank so bedeutender Studien wie PREDICT-HD und TRACK-HD haben wir jetzt eine ziemlich gute Vorstellung davon, wie wir Medikamente am wirksamsten testen können.

Von kleinen Teilchen...

Was aber, wenn diese Medikamente nicht wirksam sind oder nicht ausreichen um jeden effektiv zu behandeln? Die gute Nachricht ist, dass eine Vielzahl von potentiellen Medikamenten im früheren Entwicklungs-Stadium in der Pipeline sind und diese werden von Teams auf der ganzen Welt vorangetrieben - KMO Hemmer, Protein Faltung, Melatonin, Dantrolen und HDAC Hemmer, um nur ein paar zu nennen. Ausserdem mangelt es auch der Grundlagenforschung am Ende der Pipeline nicht an netten Forschungsprojekten. Eine unsere Lieblingsgeschichten diesen Jahres schliesst neue Erkenntnisse bezüglich der Form und Funktion des mutierten und gesunden Huntingtin Proteins mit ein. Es gibt einen faszinierenden Beweis dass das mutierte Huntingtin Protein die Funktion von sich schlängelnden, mikroskopischen Wimperntierchen, Ciliata genannt, beeinflussen. Und es gibt einen zunehmenden Beweis dafür, dass Huntington eine Krankheit ist, die den gesamten Körper in Mitleidenschaft zieht, die Hormone, das Verdauungssystem sowie auch das Gehirn.

In diesen Wintertagen denken wir an die neuen wissenschaftlichen Entdeckungen als wären sie Schneeflocken, die auf einem Gletscher landen. Eine einzelne Schneeflocke mag alleine nichts bewirken können, aber wenn sie über all die Jahre hinweg miteinander verbunden und verformt werden können sie Berge bewegen.

Blick nach vorne

Wir wissen nicht was uns 2012 bringen wird und es ist uns sehr bewusst dass für jeden einzelnen, der an der HK leidet oder Risikoperson ist, die Uhr weiterläuft. Zum Glück läuft auch die Wissenschaft weiter und auch wenn wir nicht wissen, wann effektive Medikamente für die

HK verfügbar sein werden, sind wir davon überzeugt dass Huntington geheilt werden **kann** und der Moment auf den wir alle warten kommt jeden Tag näher.

Da es gerade Zeit ist für die Neujahrsvorsätze - das sind unsere: Wir versprechen, dass wir über das Jahr 2012 hinweg weiter hart arbeiten werden um sie mit den neusten Nachrichten zur Huntingtonforschung auf dem Laufenden zu halten. Wir möchten Ihnen unseren Lesern dafür danken, dass Sie HDBuzz zu einem solchen Erfolg verholfen haben. Ihr Enthusiasmus inspiriert uns und wir freuen uns darauf ihnen mehr 'substantielle' Hoffnung im Jahr 2012 geben zu können mit aufregenden Neuigkeiten und cooler Wissenschaft

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

Glossar

Phosphodiesterase ein Protein, das zyklisches AMP und zyklisches GMP aufbricht

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

Melatonin ein Hormon, hergestellt durch die Zirbeldrüse, wichtig für die Regulierung des Schlafes

Hormone Chemische Boten, die durch Drüsen hergestellt werden und in das Blut gelangen, dies verändert, wie sich der Körper verhält

HDAC Histon-Deacetylasen (HDAC) sind Enzyme, die Acetyl-Kennzeichen von Histonen entfernen, was verursacht, dass sie die DNA freigeben, an der sie hängen

KMO Kynurenin-Monooxygenase, ein Enzym dass das Gleichgewicht der schädlichen und schützenden Chemikalien steuert, die aus dem Abbau der Proteine resultieren

© 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

Erstellt am 25. Juli 2017 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/066>