

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

Huntington Therapie Konferenz 2012 Updates: Tag 2



Tag 2 unserer Berichterstattung von der Huntington Therapie Konferenz

Von Dr Ed Wild am 7. März 2012

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll; Übersetzt von Martin Oehmen

Ursprünglich veröffentlicht am 1. März 2012

Unser zweiter Tagesreport von der jährlichen Huntington Therapie Konferenz in Palm Springs, Kalifornien. Der Fokus der Sitzungen des zweiten Tages lag auf dem Gen-Silencing. Ihr könnt euch am @HDBuzzFeed beteiligen oder eure Fragen, Kommentare und Anregungen per eMail an palmsprings@hdbuzz.net schicken.

Mittwoch, 29 Februar 2012

9:03 - Huntington Therapie Konferenz Update: dieser Morgen legt seinen Fokus auf das Gen-Silencing - eine sehr aufregende potentielle Therapie.

9:35 - **Beverly Davidson** (University of Iowa): Das mutierte HK-Gen in Mäusen still zu legen hat eindeutige Vorteile, aber wir müssen alle nicht beabsichtigten toxischen Nebeneffekte berücksichtigen.

9:45 - **Davidson** steht hinter einer der drei aktuellen Veröffentlichungen, die zeigen, dass Huntingtin-Gen-Silencing in Primaten sicher ist - ein Schlüsselschritt hin zu Versuchen am Menschen.

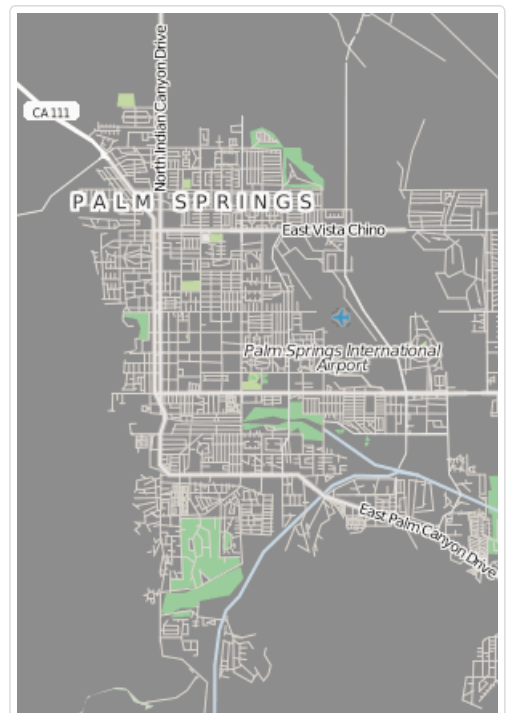
9:49 - **Davidsons** Gruppe arbeitet nun an neuen Gen-Silencing Wirkstoffen, welche die mutierte Kopie des Gens stärker unterdrücken als die "gesunde" Kopie.

9:50 - Das mutierte Gen selektiv anzugreifen könnte sicherer sein, ist aber auch eine größere Herausforderung. An beiden Herangehensweisen wird gearbeitet.

10:06 - **Frank Bennett** (Isis Pharmaceuticals) benutzt leicht unterschiedliche DNA-ähnliche-Moleküle, sogenannte ASOs, um das Huntingtin-Gen aus zu schalten.

10:07 - **Bennett**: Huntingtin scheint im Vergleich zu anderen Genen recht leicht aus zu schalten zu sein - welch glücklicher Zufall!

10:00 - **Bennetts** ASO Wirkstoffe werden besser von Zellen aufgenommen als RNAi Wirkstoffe.



Die Huntington Therapie Konferenz findet in Palm Springs, Kalifornien, statt
Quelle: Open Street Map

Dies könnte es erleichtern, sie Patienten zu verabreichen - vielleicht ohne Operation am Gehirn?

10:13 - **Bennetts** Firma Isis Pharmaceuticals ist sehr erfahren im Gen-Silencing - über 2000 Patienten, die an anderen Krankheiten leiden, haben ihre Wirkstoffe erhalten.

10:17 - **Bennett**: Bei der Testung in zwei verschiedenen Mausmodellen bewirkten ASO-Gen-Silencing Wirkstoffe Verbesserungen in der Koordination und Kognition.

10:19 - **Bennett**: Die Infusion von ASOs in die Flüssigkeit an der Basis des Rückgrats reicht in Affen aus, um den Wirkstoff in weite Bereiche des Gehirns zu überbringen.

10:22 - **Bennett**: Sogar einzelne Injektionen der Gen-Silencing ASOs könnten ausreichen, um das Gehirn zu behandeln. Tiefliegende Gehirnregionen sind jedoch schwerer zu erreichen.

10:25 - **Bennett**: Viele Menschen zeigen kleine Unterschiede zwischen den beiden Kopien des Huntingtin-Gens, abgesehen von der verlängerten CAG-Region. Diese Unterschiede könnte man nutzen, um Wirkstoffe zu entwickeln, die nur das mutierte Gen angreifen.

11:04 - **Steve Zhang** (Sangamo BioSciences): "Zinkfinger-Proteine" können spezifische DNA-Sequenzen binden, was die Möglichkeit aufweist, unsere Gene zu "editieren".

11:07 - Für jeden, der mehr Informationen möchte: Videos der Vorträge werden bald zugänglich sein, zudem schreiben wir einen zusammenfassenden Artikel.

11:00 - **Zhang**: Ein weiterer Nutzen von Zinkfinger-Proteinen ist es Stammzellen zu designen, um generische Krankheiten in menschlichen Zellen zu studieren.

11:18 - **Zhangs** Firma Sangamo hat erfolgreich Hemophilia im Mausmodell behandelt, durch die Anwendung von "Genom-Editing".

11:19 - **Zhang**: Zinkfinger-Proteine können zudem genutzt werden, um Gene an und aus zu schalten, ein weitere mögliche Herangehensweise durch Gen-Silencing.

11:20 - **Zhang**: Wir können außerdem versuchen hilfreiche Gene an zu schalten, so dass das Gehirn mehr schützende Stoffe produziert.

11:25 - **Zhang**: Zinkfinger-Wirkstoffe, die das Gehirn veranlassen die schützende Chemikalie GDNF zu produzieren, werden bald in einer Studie zur Parkinson Krankheit getestet.

11:26 - Sangamo wird ab nun an der Huntingtonkrankheit forschen.

”

Viele Menschen tragen kleine Unterschiede in den 2 Kopien des Huntingtin-Gens, neben dem Längenunterschied in der CAG-Wiederholung. Diese Unterschiede können genutzt werden, um Wirkstoffe zu entwickeln, die nur das mutierte Gen stilllegen.

“

11:29 - **Zhang**: Sangamos derzeitige Strategie ist zu versuchen, die Huntingtin-Produktion durch ein Maß geschneidertes Zinkfinger-Molekül zu reduzieren.

11:36 - **Zhang**: Es wird zudem an einem Zinkfinger-Wirkstoff gearbeitet, der nur Huntingtin-Gene mit einer verlängerten CAG-Region ausschaltet.

11:53 - **Bill Kaemmerer** (Medtronic): Damit neue Studien zu Silencing-Wirkstoffen durchgeführt werden können, werden "Biomarker" benötigt - Tests zur Sicherheit und Messgenauigkeit, um zu wissen ob ein Wirkstoff funktioniert.

12:02 - **Kaemmerer**: Eine Kombination aus MR Bildgebung, CSF Chemikalien und klinischen Verfahren wird in frühen RNAi-Gen-Silencing Studien Verwendung finden.

12:07 - **Kaemmerer** ist Teil der Gruppe, die hinter einer anderen aktuellen Primaten-Sicherheits-Studie zum Huntingtin-Gen-Silencing steht.

12:37 - **Neil Aronin** (University of Massachusetts School of Medicine) und seine Gruppe versuchen zu verstehen wie eines der Gen-Silencing-Verfahren, die RNAi, im Detail funktioniert, um hochwertige Wirkstoffe entwickeln zu können.

12:46 - **Aronin** und seine Gruppe verwenden Schafe, um die neuro-operativen Techniken zu studieren, welche für Gen-Silencing Studien am Menschen notwendig sind.

Rückblick

Verschiedene Strategien werden derzeit parallel entwickelt, um das Huntingtin-Gen still zu legen, das die direkte Ursache für alle Probleme in der HK ist. Es gibt noch die ein oder anderen kleinen Unklarheiten, aber prinzipiell hat jede Herangehensweise bisher alle Hürden genommen, die ihr im Wege standen. Verschiedene klinische Studien, welche HK-Patienten beinhalten, befinden sich in Planung und zielen alle auf einen schnellen Start ab, innerhalb von Monaten und nicht Jahren. Die Einsätze sind hoch, aber es ist eine wirklich aufregende Zeit.

Dr. Wilds und Dr. Carrolls Registrierungsbeitrag für die Therapie Konferenz wurde freundlicherweise von dem Sponsor der Konferenz (CHDI Inc.) erstattet, aber ihre Beteiligung wurde von HDBuzz und dem Europäischen HK Netzwerk unterstützt, Geldquellen, die von CHDI unabhängig sind. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...

Glossar

Stammzellen Zellen, die sich in verschiedene Zelltypen teilen können

Biomarker Irgendeine Art von Test - inklusive Bluttest, Gedächtnistest und Gehirnsan - der den Fortschritt einer Krankheit wie der Huntington-Krankheit messen oder vorhersagen kann. Biomarker können klinische Studien von neuen Medikamenten schneller und verlässlicher machen.

Therapie Behandlungen

Genom Der Name, der für alle Gene vergeben wurde, die die kompletten "Bauanleitungen" einer Person oder eines Organismus enthalten

ASOs Eine Art von Gen-Stummschaltung-Behandlung, in der speziell entworfene DNA-Moleküle genutzt werden, um ein Gen auszuschalten

GDNF glial cell-derived neurotrophic factor: ein Wachstumsfaktor, der Neurone bei der Parkinson Krankheit schützt, und vielleicht auch bei der HK

© 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 12. Juli 2017 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/076>