Huntington Therapie Konferenz 2012 Updates: Tag 3

Tag 3 unserer Berichterstattung zur Huntington Therapie Konferenz

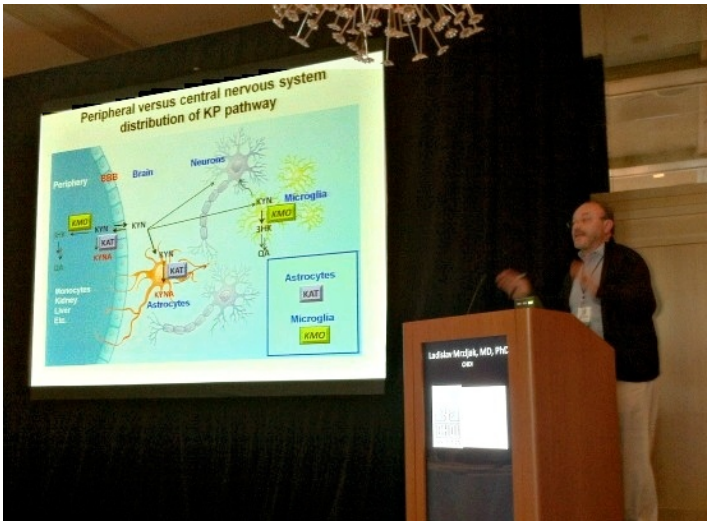
Von Dr Jeff Carroll | **7. März 2012** | **Bearbeitet von Professor Ed Wild**

Übersetzt von Martin Oehmen | **Ursprünglich veröffentlicht am 2. März 2012**

Unser dritter und letzter Tagesbericht von der jährlichen Huntington Therapie Konferenz in Palm Springs, Kalifornien. Wir werden zusammenfassende Artikel und Interviews von der Konferenz über die nächsten Wochen veröffentlichen.

Donnerstag, 1. März 2012

9:10 - **Chris Schmidt** arbeitet bei Pfizer, ein pharmazeutischer Riese, der mit CHDI zusammenarbeitet, um neue HK Wirkstoffe zu entwickeln.



Ladislav Mrzljak: KMO inhibierende Wirkstoffe könnten in der Lage sein einen Vorteil aus der Kommunikation zwischen Gehirn und Immunsystem zu ziehen

9:23 - **Schmidt**: Medikamente, die von Pfizer für andere Krankheiten entwickelt und bereits auf Sicherheit am Menschen getestet wurden, könnten in der HK hilfreich sein.

9:45 - **Schmidt**: Wirkstoffe die auf Enzyme abzielen, welche “Phosphodiesterasen” genannt werden, wirken gut in gesunden menschlichen Freiwilligen und könnten in der HK von Nutzen sein.

9:59 - **Vahri Beaumont** von CHDI leitet die Gruppe welche Pfizers Wirkstoff in Mausmodellen der HK testet, um festzustellen ob sie in der HK einen Effekt zeigen.

10:01 - **Beaumont**: Gehirnzellen in HK Mäusen zeigen schon in sehr jungem Alter eindeutige Veränderungen. Diese frühen Veränderungen zu beheben ist das Ziel von Pfizers Wirkstofftest.

10:06 - **Beaumont**: Die Pfizer Wirkstoffe machen veränderte Gehirnzellfunktionen in HK-Mäusen rückgängig - behandelte Zellen sehen gesünder und normaler aus als unbehandelte.

10:30 - **Schmidt**: Pfizer und CHDI planen klinische Studien zu PDE Wirkstoffen. Vorbereitende Arbeiten mit Patienten stehen hoffentlich 2012 an, HK Wirkstoffstudien dann vielleicht 2013.

10:33 - **Schmidt**: Es werden bereits Pläne geschmiedet für eine 2 jährige Studie eines PDE-10 Inhibitor-Wirkstoffes in der HK, in der Hoffnung, dass die Arbeit weiterhin gut voran geht.

11:07 - **Ladislav Mrzljak** leitet eine Gruppe bei CHDI, die Wirkstoffe zur Inhibition von "KMO" entwickelt. Werfen sie hierzu einen Blick auf unseren KMO-Inhibitor Artikel, um zu wissen warum diese Arbeit eine gute Sache ist.

11:14 - **Mrzljak**: KMO inhibierende Wirkstoffe sind vielleicht in der Lage einen Vorteil aus der Kommunikation zwischen dem Gehirn und dem Immunsystem zu schlagen.

11:38 - **Mrzljak**: CHDIs bester Kandidat eines KMO-Inhibitions Wirkstoffes wird CHDI-246 genannt. Es funktioniert gut in Labortests zu wünschenswerten chemischen Wirkungsweisen.

11:41 - **Mrzljak**: Studien zu CHDI-246 werden bereits in zwei Mausmodellen und einem Rattenmodell der Huntingtonkrankheit durchgeführt. Wirkstoffe in mehreren Mausmodellen zu untersuchen verhindert "falsch positive" Resultate zu erzeugen und stellt sicher, dass nur die vielversprechendsten Wirkstoffe in Studien am Menschen Verwendung finden.

12:01 - **Graham Bilbe** arbeitet für den Medikamentenriesen Novartis, der ein Medikament namens Mavoglurant testet, das Rezeptoren für den Gehirntransmitter Glutamat blockiert.

12:04 - **Bilbe**: Manchmal sind Jahrzehnte an Arbeit notwendig, um zu beweisen, dass ein Wirkstoff es wert ist am Menschen getestet zu werden.

12:07 - **Bilbe**: Es besteht der begründete Verdacht, dass eine übermäßige Aktivität des Glutamatsystems in vielen Krankheiten eine Rolle spielt.

12:13 - **Bilbe**: Durch die ungewollten Bewegungen, welche Parkinson Medikamente verursachen können, bekam Novartis die Idee, das Glutamat-Inhibitoren in der HK hilfreich sein könnten.

> **„Fehlendes Grundwissen ist nun kein limitierender Faktor mehr auf der Suche**

> **nach Behandlungen der HK "**

12:16 - **Bilbe**: Mavoglurant zeigte positive Effekte in einer kleinen Studie zur Parkinsonkrankheit, und wird nun in größere Studien überführt.

12:27 - **Bilbe**: Novartis Studie zu Mavoglurant in HK Bewegungssymptomen wurde kürzlich abgeschlossen und die Daten werden derzeit analysiert.

14:14 - CHDI hat **Christina Sampaio** als Chief Clinical Officer angestellt - gute Neuigkeiten, denn sie hat viel Erfahrung mit Medikamentenstudien.

14:18 - **Sampaio**: Um erfolgreich in der Entwicklung von Medikamenten für die HK zu sein müssen wir alte Kapitel abschließen, und keine Studien mit Wirkstoffen wiederholen, die bereits versagt haben.

14:21 - **Sampaio**: Wir sollten nicht versuchen die längsten und größten Studien zu starten, sondern Studien sehr bewusst durchdenken.

14:41 - **Sampaio**: Andere Krankheiten tragen zur Forschung an der HK bei - RNAi-Studien in der Duchenne Muskeldystrophie helfen uns dieses Verfahren besser zu verstehen.

14:48 - **Sampaio**: Zukünftige Studien werden wahrscheinlich an Patienten mit HK Symptomen durchgeführt, denn hier kann der Behandlungsfortschritt bemessen werden.

14:50 - **Sampaio**: Wenn andere Krankheiten etwas beitragen können, brauchen wir vielleicht verschiedene Behandlungen, um die HK in den Griff zu bekommen. Viele Herangehensweisen werden derzeit getestet.

14:57 - **Sarah Tabrizi** (University College London) und ihre Gruppe haben die Beobachtungsstudie TRACK-HD zusammengefasst, die auf 3 Jahre geplant war.

14:58 - **Tabrizi**: Ein Mangel an Grundverständnis ist nicht mehr der limitierende Faktor beim Aufspüren von Behandlungen der HK.

15:18 - **Tabrizi**: Veränderungen im Gehirn können durch MRI gesehen werden und lassen Vorhersagen zu, ob jemand Symptome entwickeln wird - Studien sollten MRI beinhalten.

15:25 - **Tabrizi**: Die 3 Jahre zurückgreifenden Daten von Teilnehmern der TRACK-HD Studie sind brandheiß und decken Veränderungen auf, die in HK-Studien Verwendung finden können.

15:29 - **Tabrizi**: Die Veränderungen im Gehirn von Menschen mit der HK-Mutation können über Jahre hin kompensiert werden und ein normales Verhalten ermöglichen.

15:37 - **Tabrizi**: Eine neue Studie, TrackOn-HD, versucht zu verstehen wie die Gehirne von Menschen mit der HK-Mutation diesen Verlust kompensieren können.

16:10 - **Mark Guttman** (Centre for Movement Disorders) stellt die provokante Frage: Wann beginnen HK-Symptome?

Simon Noble präsentiert CHDIs neues Logo

16:24 - **Guttman**: Ärzte diagnostizieren den Beginn der HK basierend auf abnormalen Bewegungen. Oftmals ist eine sichere Diagnose schwierig, Ungewissheit kann sehr beängstigend sein. Viele von der HK betroffene Menschen und deren Familien berichten von einem “Spektrum” an Symptomen vor der “offiziellen” Diagnose.

16:37 - **Guttman** fragt, ob man dieses Spektrum zu einem Teil der diagnostischen Kriterien machen sollte, eingeschlossen der MRI-Scans. Ein Vorteil könnte eine frühere Behandlung sein - wenn Medikamente zur Verfügung stehen würden, die funktionieren.

16:40 - **Guttman**: Eine Gruppe von Klinikern, Wissenschaftlern und Patienten-Repräsentanten untersucht diese Möglichkeit.

16:58 - **Michael Hayden** (University of British Columbia): Viele neue genetische Diagnosen der HK werden in Menschen über 60 Jahre gestellt. Viele Menschen wissen nicht, dass sie zur Risikogruppe gehören.

16:59 - **Hayden**: Aufgrund der steigenden Lebenserwartung, leben Menschen nun lange genug, um die HK zu entwickeln, anstatt an hohem Alter zu sterben.

17:00 - Prävalenz ist die Bezeichnung, welche Wissenschaftler dafür benutzen, wie viele Menschen zu einem bestimmten Zeitpunkt an einer Krankheit leiden.

17:01 - **Hayden**: Die wahre Prävalenz der HK ist möglicherweise viel höher als bisher vermutet.

17:03 - **Hayden**: Eine steigende Beachtung der HK hat außerdem dazu beigetragen mehr von der HK betroffene Menschen medizinisch zu versorgen.

17:05 - **Hayden**: Genaue Untersuchungen in Britisch Kolumbien haben gezeigt, dass die Prävalenz doppelt so hoch ist wie bisher gedacht - mindestens 1 : 6.800.

17:06 - **Hayden**: Das bedeutet, dass bis zu einem in tausend Menschen in Britisch Kolumbien ein 25% oder 50% Risiko für die HK trägt.

17:16 - **Hayden**: Diese Erkenntnis bedeutet, dass die Diagnose für die HK verbessert werden muss, und dass die Förderung für die HK-Pflege steigen muss.

17:42 - **Simon Noble** deckt CHDIs Logo auf - ein Baum aus Molekülen, der HK-Familien, Verbundenheit und Medikamente repräsentiert.

18:02 - HDBuzz Editoren **Jeff** und *Ed* stellen HDBuzz auf der Konferenz vor.

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

Beobachtungsstudie Eine Studie die Messungen an freiwilligen Menschen macht, aber keine experimentellen Medikamente oder Behandlungen gibt

Therapie Behandlungen

Glutamat eine Signal-Chemikalie im Gehirn oder „Neurotransmitter"

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

ALS Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

© HDBuzz 2011-2024. 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 9. Januar 2024 — Heruntergeladen von https://de.hdbuzz.net/077