

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

EuroBuzz 2014: Tag Drei



Unser dritter und letzter Bericht über das Treffen des Europäischen Huntington-Netzwerkes 2014 in Barcelona

Von Dr Ed Wild am 23. September 2014

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll; Übersetzt von Michaela Grein

Ursprünglich veröffentlicht am 21. September 2014

Unser letzter Bericht vom Treffen des Europäischen Huntington-Netzwerkes. In Kürze werden zum ersten Mal die Videos von vielen der Präsentationen einschließlich unseres „EuroBuzz“ online verfügbar sein.

08:09 – Die EHDN-Sitzung konzentriert sich heute Morgen auf eine der aufregendsten therapeutischen Möglichkeiten– die Huntingtin-Senkung

08:10 - **Leslie Thompson** ist daran interessiert, wie kleine Veränderungen am Huntingtin-Protein selbst seine Wende steuern. Wenn wir verstehen können, wie die Zellen das Huntingtin normalerweise loswerden, können wir den Prozess mit Medikamenten vielleicht verbessern. Thompson's Team erforscht einen Schlüsselweg, den die Zellen nutzen, um Huntingtin loszuwerden namens "Sumo-lierung" (ja, wirklich!). Ein weiterer Weg, von dem die Zellen mit der Huntington-Mutation profitieren, ist es, ihnen zu helfen, die Proteine sorgfältiger herzustellen. Zellen stellen Proteine her, um den größten Teil ihrer Arbeit zu machen, die sich in komplexe Formen falten müssen, dieser Prozess kann manchmal schief gehen. Ein normaler Teil der Zell-Protein-Faltungs-Maschinerie heißt TRIC. Den Zellen mehr TRIC zu geben, schützt sie vor der Huntington-Mutation. Thompson erforscht nun verschiedene Möglichkeiten, um TRIC in das Gehirn zu bekommen, um zu verstehen, ob dies eine therapeutische Möglichkeit für die Huntington-Krankheit ist.

08:27 - **Doug MacDonald** von der CHDI-Stiftung arbeitet seit langer Zeit an den Behandlungen mittels Huntingtin-Senkung. Das Huntingtin zu senken ist eine der aufregendsten potenziellen Behandlungen für die Huntington-Krankheit. Das mutierte Huntingtin-Gen wird von der Zelle verwendet, um eine Kopie zu erstellen, die wir "Nachrichten-RNA" nennen, die in ein Protein umgewandelt wird. Verwirrt? Überraschenderweise gibt es jetzt Therapien, die jede dieser Ebenen angreifen können – das Gen, die Nachricht und das Protein, um zu versuchen, es loszuwerden. Welcher Ansatz wird also am besten funktionieren, um die Symptome der Huntington-Krankheit



Leslie Thompson von UC Irvine war unter den heutigen

Präsentatoren. Ihr Team untersucht das mutierte Huntingtin-Protein und Wege, um den Schaden zu reduzieren, den es verursacht

zu reduzieren? CHDI und andere Forscher versuchen eine Reihe von Ansätzen. Ein Problem bei all diesen Ansätzen ist, wie werden wir wissen, ob wir das Huntingtin-Niveau reduziert haben? Erstaunliche neue Ansätze ermöglichen es den Forschern, die einzelnen Kopien des Huntingtin-

Proteins zu zählen. Weil sie so empfindlich sind, lassen diese Techniken die Wissenschaftler das Huntingtin im Hirnwasser messen, das das Gehirn umspült. Wenn wir Medikamente in das Gehirn bringen, um HTT zu senken, können wir vielleicht in der Lage sein, sicherzustellen ob es funktioniert, wenn man die Rückenmarksflüssigkeit sammelt. Rückenmarksflüssigkeit zu spenden ist nicht trivial, aber es ist viel einfacher, als das Gehirn zu spenden! CHDI arbeitet an der Entwicklung von High-Tech-Messungen der Gehirnfunktion, die bei Huntington-Mäusen funktionieren, in der Hoffnung, dass sie auch bei den Menschen funktionieren werden.

08:51 - **Jang-Ho Cha** von Merck und der HDSA spricht auf der Konferenz über die Herausforderungen der klinischen Studien bei der Huntington-Krankheit. "Unser Ziel: Behandlungen für die Huntington-Krankheit. Was benötigen wir, um zu diesem Punkt zu gelangen?" Ohne einen Weg über klinische Studien werden wir keine wirksamen Behandlungen bekommen. Es gibt zwei Arten von Forschung, die wir brauchen, um zu klinischen Studien zu gelangen - "klinische" Arbeit mit Menschen und "prä-klinische" Arbeit im Labor. Auf dem Weg wird es Klüften geben, die als unmöglich erscheinen, aber wenn wir klug sind, werden wir sie überwinden. Sobald wir herausfinden, wie wir unmöglich scheinende Probleme für eine Studie lösen, werden die Lösungen dabei helfen, die zukünftigen zu beschleunigen. Die erste Phase der Erprobung eines Medikaments ist eine "Phase 1"-Studie. Diese Studien stellen nur fest, ob ein Medikament sicher und gut verträglich ist. Biomarker, d. h. die messbaren Merkmale, die bei den Menschen gemessen werden können, helfen den Huntington-Medikamenten-Entwicklern "auf der Spur" zu bleiben. Die Medikamentenentwicklung für die Multiple Sklerose wurde durch die Entwicklung von MRI-basierten Biomarkern beschleunigt. Diese hohe Beschleunigung der Studien hat bei der MS zu 14 Behandlungen für diese bis dahin nicht behandelbare Krankheit geführt. Was ist eine "Phase 2"-Studie? Eine Studie, die entwickelt wurde, um einige "Beweise der Machbarkeit" bereitzustellen, dass ein Medikament wirkt. Wir müssen unterschiedlich über die Medikamente nachdenken, die entwickelt werden, um die Huntington-Symptome zu verbessern und über diejenigen, von denen man denkt, dass sie die Krankheit tatsächlich verhindern. Bessere Möglichkeiten zur Quantifizierung der Huntington-Symptome werden zu kleineren, schnelleren und billigeren Studien führen. Eine „Phase 3“-Studie wurde entwickelt, um "ausschlaggebende" Beweise bereitzustellen, dass ein Medikament wirkt, und zu seiner Zulassung führen können. "Keine Patienten, keine Studien". Eine engagierte und informierte Huntington-Gemeinschaft ist erforderlich, um die klinischen Studien zu vollenden, die wir brauchen.

10:10 - **Prof Landwehrmeyer's** Gedanken über den Umgang mit Enttäuschung und Frustration zitieren Churchill - "Der Weg zum Erfolg ist es, von Misserfolg zu Misserfolg zu gehen, ohne die Begeisterung zu verlieren"

10:22 - Landwehrmeyer sagt uns, wir haben seit Jahren gesagt: "Die Medikamente kommen" - endlich passiert es

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

” Wir stehen kurz vor den Behandlungen, die wirklich funktionieren könnten - Jang-Ho Cha

“

Glossar

Huntingtin-Protein Das Protein, das vom Huntington-Gen hergestellt wird.

Multiple Sklerose eine Krankheit des Gehirns und des Rückenmarks, bei der Folgen von Entzündungen Schäden verursachen. Im Gegensatz zur Huntington-Krankheit ist MS nicht genetisch vererblich.

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

RNA Die Chemikalie ähnlich der DNA, die die "Nachrichten"-Moleküle herstellt, die die Zellen als Arbeitskopien von Genen bei der Herstellung von Proteinen nutzen.

© 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 1. Juli 2017 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/176>