

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

## Huntington-Therapie-Konferenz 2015: Tag 3



Tag 3 über Aktuelles von der jährlichen Huntington-Therapie-Konferenz in Palm Springs  
Von Dr Jeff Carroll am 5. März 2015  
Bearbeitet von Dr Ed Wild; Übersetzt von Michaela Grein  
Ursprünglich veröffentlicht am 3. März 2015

*Unserer letzter Bericht der jährlichen Huntington-Therapie-Konferenz.*

### Donnerstagsmorgen: Vorträge aus der klinischen Forschung

09:06 – Heute Morgen konzentrieren sich die Vorträge auf die Forschungsergebnisse bei den Menschen mit der Huntington-Krankheit, anstatt auf Tiermodelle oder Zellen. Eine wichtige Sache!

09:09 - Gil Di Paolo interessiert sich für das, was Wissenschaftler als „Lipide“ kennen und die meisten Leute als „Fette“ im Gehirn. Unsere Gehirne sind zu etwa 60 % Fett.

09:11 - Gehirnfette kommen in einer verwirrenden Vielfalt von Arten vor, einige sind reichlich vorhanden und einige sehr selten. Selbst seltene Fettarten spielen eine wichtige Rolle im Gehirn.

09:13 - Di Paolo erinnert das Publikum daran, dass das Huntingtin-Protein sich gerne an „Membranen“ anhaftet, die fettigen Blätter, die die Zellgrenzen bilden

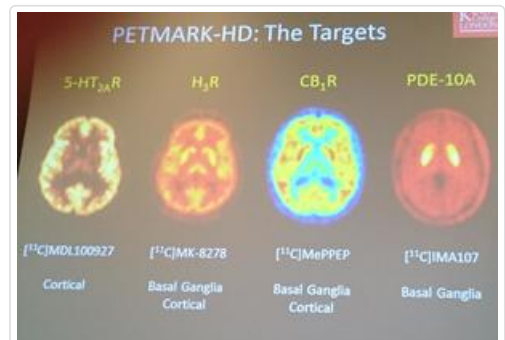
09:13 - Auch die Produktion von Fetten ist bei dem Huntington-Gehirn verlangsamt, was zu Veränderungen im Niveau der verschiedenen Fette im Gehirn führen könnte.

09:15 - Di Paolo's Labor ist spezialisiert auf „Lipidomics“ oder die genaue Messung von Hunderten (oder sogar Tausenden!) unterschiedlicher Fettmoleküle

09:16 - Di Paolo hat mit Huntington-Gehirnen gearbeitet, um zu sehen, ob es stimmt, dass es Reduzierungen bei den Mengen wichtiger Fettsäuren gibt.

09:18 - Di Paolo hat auch Untersuchungen der Fettmoleküle im Blut von Huntington-Mutationsträgern aus der TRACK-HD Studie vorgenommen

09:24 - Jedes Gewebe hat eine einzigartige Fettsignatur - das Gehirn ist ganz anders als das Blut in Bezug darauf, welche Fette vorhanden sind



Marios Politis kündigte seine PETMARK-HD-Studie an, die mehrere molekulare Scan-Methoden zum ersten Mal bei der Huntington-Krankheit vergleichen wird.

09:28 - Di Paolo beobachtet eine Reihe von sehr spezifischen Fettveränderungen im Blut von Menschen, die die Huntington-Mutation haben

09:30 - Diese Veränderungen sind unterschiedlich zu den Veränderungen, die bei der Parkinson-Krankheit zu sehen sind, was nahe legt, das bei der Huntington-Krankheit etwas Bestimmtes im Gange sein könnte

09:36 - Di Paolo hat diese Ergebnisse erst seit 5 Tagen, also beobachten Sie diesen Ort für eine genauere Analyse dieser aufregenden neuen Ergebnisse.

09:40 - **Disclaimer:** der nächste Kerl auf der Bühne ist ein Typ namens Dr. Ed Wild, also Vorsicht, denn unsere Objektivität könnte möglicherweise geringfügig abweichen!

09:49 - Wild arbeitet daran, die Rückenmarksflüssigkeit von Huntington-Mutationsträgern zu isolieren, eine wichtige Möglichkeit, um zu sehen, was im Gehirn los ist

09:53 - Warum ist die Rückenmarksflüssigkeit wichtig? Wir wollen über das Gehirn lernen, können aber Proben vom Gehirngewebe nicht sicher entnehmen. Proben der Rückenmarksflüssigkeit zu nehmen ist viel sicherer.

09:56 - Andere Krankheiten wie Alzheimer haben Marker in der Rückenmarksflüssigkeit gut charakterisiert, um den Krankheitsfortschritt zu verfolgen, aber nicht die Huntington-Krankheit

09:58 - Wild hat eine extravagante Maschine verwendet, die ihn winzige Mengen des Huntingtin-Proteins in der Rückenmarksflüssigkeit messen lässt

10:00 - Interessanterweise steigt die Menge des Huntingtin-Proteins in der Rückenmarksflüssigkeit mit dem Fortschritt der Huntington-Krankheit und korreliert mit den Huntington-Symptomen

10:02 - Die Rückenmarksflüssigkeit scheint besonders zu sein - Blutspiegel des Huntingtin-Proteins zeigen nicht das gleiche interessante Muster.

10:06 - Wild verwendet seine Rückenmarksflüssigkeit auch, um Ideen zu untersuchen, die Wissenschaftler vorgeschlagen haben, dazu misst er das Niveau bestimmter Chemikalien in der Rückenmarksflüssigkeit

10:10 – Wild's Sammlung der Rückenmarksflüssigkeit ist eine wichtige Ressource, um ein Fenster in das Huntington-Gehirn zu liefern

10:12 - Wild ist auch am Strom der Rückenmarksflüssigkeit im Gehirn interessiert - er startet eine bildgebende Studie, um dies zu untersuchen,

10:14 - Wild kündigte auch den Start seines „HDClarity“-Konsortiums an, das qualitativ hochwertige Rückenmarksflüssigkeit in einer Reihe von Zentren weltweit sammeln wird

10:23 - Guillermo Cecchi, von der IBM Forschung, befasst sich auf der Konferenz mit der Anwendung von Computertechniken durch sein Team in Biologie und Medizin

10:24 - Insbesondere untersucht er, ob eine Computeranalyse der Sprache verwendet werden kann, um in der Psychiatrie zu helfen. Könnte Siri Ihren Therapeuten ersetzen?

10:49 – Beeindruckend, die Computer-Technologie der nächsten Generation zu sehen, und dass die verwendet wird, um die Huntington-Krankheit zu verstehen

11:23 - Diane Stephenson, vom Critical Path Institute, spricht auf der Konferenz - ihre Organisation arbeitet daran, die Entwicklung von Therapien zu beschleunigen.

11:25 - Das Ziel des Critical Path Outcome ist es, Gruppen zusammenzubringen, die bei der Entwicklung von Medikamenten beteiligt sind - Unternehmen, Patienten und Behörden

11:29 - Sie versuchen, die Lücken in der Medikamentenentwicklung zu schließen, um den Prozess der Zulassung von Medikamenten zu beschleunigen.

11:30 - Ein wichtiges Ziel ist es, dass Wissenschaftler, Unternehmen und andere Beteiligte, ihre Daten aus den klinischen Studien teilen

11:32 - Mehr über das Critical Path Institute finden Sie hier:  
<http://c-path.org/>

11:36 - Ein Hauptproblem, das bei der Medikamentenentwicklung existiert, besteht darin, dass eine große Menge an Daten über Patienten und Medikamente über viele Datenbanken verteilt ist

11:37 - Das CPI hat Techniken entwickelt, um all diese Daten zu standardisieren und sie zusammenzulegen, so dass jeder mit Standard-Datenbanken arbeiten kann

11:38 - Diese Datenbanken über die Wirkungen von Medikamenten und das Fortschreiten der Krankheit können Pharmaunternehmen helfen, in der Zukunft bessere klinische Studien zu planen

11:40 - Mit all diesen erhobenen Daten ist es möglich, tatsächlich eine klinische Studie zu simulieren, bevor man sie durchführt – um Fragen vom Typ „was-wäre-wenn“ zu stellen

11:42 - Die Computersimulationen lassen Menschen, die Studien planen, frühzeitig spielend den besten Weg finden, um effiziente Studien durchzuführen

11:57 - Michal Geva, von Teva Pharmaceuticals @tevapharm, bietet einen aktuellen Überblick über Teva's Medikamentenprogramme für die Huntington-Krankheiten

11:57 Uhr - In einem beispiellosen Vertrauensbeweis durch die Huntington-Gemeinschaft hat Teva nicht ein sondern zwei Medikamente in klinischen Studien für die Huntington-Krankheit

11:58 Uhr - Das erste Medikament ist Pridopidine, auch Huntexil bekannt. Dies zielt auf die Verbesserung der Bewegungssymptome bei der Huntington-Krankheit ab, siehe

”

Es gibt eine Menge Aufregung über die bevorstehende Studie eines „Gen-Stummschaltungs“-Medikamentes von Isis Pharmaceuticals. Aber wir dürfen nicht vergessen, dass sie sich in erster Linie auf die Sicherheit konzentriert

“

<http://de.hdbuzz.net/025>

12:00 - Teva hofft, dass ihre Pride-HD Studie die geforderten Beweise liefern wird, um Huntexil für die Huntington-Patienten lizenziert zu bekommen, siehe <http://www.huntington-study-group.org/CurrentClinicalTrials/PrideHD/tabid/305/Default.aspx>

12:02 - Tag 2 über Aktuelles von der jährlichen Huntington- Therapie-Konferenz in Palm Springs, siehe <http://de.hdbuzz.net/190>

12:08 - Während Pride-HD geschieht, haben Teva Wissenschaftler einige interessante Dinge über das Medikament gezeigt ...

12:08 - ... inklusive einem Hinweis, dass es den Verbindungen zwischen den Gehirnzellen helfen könnte

12:15 - Teva hat auch herausgefunden, dass Pridopidine eine Chemikalie namens BDNF erhöhen könnte, die die Gehirnzellen schützt. Dies könnte allerdings nicht bei Menschen passieren!

12:17 – Teva's zweites Medikament ist Laquinimod, das in einer anderen Huntington-Studie getestet wird - LEGATO-HD, siehe <http://www.huntington-study-group.org/CurrentClinicalTrials/LEGATOHD/tabid/317/Default.aspx>

12:18 - Laquinimod zielt darauf ab, das Verhalten der Immunzellen des Gehirns zu verändern – namens Mikroglia. Sie sind bei der Huntington-Krankheit überaktiv und könnten möglicherweise schaden

12:19 Also Teva hofft, dass die Dämpfung der Mikroglia-Aktivität den Gehirnzellen helfen könnte, um bei der Huntington-Krankheit zu überleben oder auch das Fortschreiten zu verlangsamen.

## **Donnerstagnachmittag: Aktuelles über klinische Studien**

14:11 - Sarah Tabrizi und Sarah Gregory, UCL, sprechen auf der Konferenz über die Ergebnisse der "TrackOn-HD"-Studie

14:12 - TrackOn wurde entwickelt, um die Ergebnisse der TRACK-HD- Beobachtungsstudie zu verfolgen, die eine Reihe von Veränderungen bei Huntington-Mutationsträgern gefunden hatte

14:16 - Interessant ist, dass in der TRACK-HD Studie eine Reihe von bildgebenden Veränderungen gefunden wurden, die nicht mit den Veränderungen bei der Denkfähigkeit in Verbindung standen.

14:19 - Also wie kann das Gehirn schrumpfen, ohne dass es Probleme bei der Denkfähigkeit verursacht? Tabrizi ist daran interessiert, wie die Huntington-Gehirne „Ausgleich schaffen“ im Verlauf der Huntington-Krankheit.

14:20 – Bildgebung aus der TrackOn-HD Studie wird verwendet, um zu verstehen, wie die Kommunikation zwischen den Gehirnregionen bei der Huntington-Krankheit verändert ist.

14:23 Uhr - Es scheint bei der Huntington-Krankheit viel weniger Kommunikation zwischen den entfernten Gehirnregionen und mehr Kommunikation im Nahbereich zu geben

14:27 – Tabrizi's Team ist daran interessiert Experimente zu entwerfen, die sie untersuchen lassen, wie Gehirne, die die Schäden erleiden, diese bewältigen.

14:33 - Sie waren in der Lage, Muster der Gehirnaktivität zu finden, die höher waren bei den Huntington-Mutationsträgern, die besser waren bei Denkaufgaben

14:35 - Dies deutet darauf hin, dass Gehirne eine gewisse Fähigkeit haben, um die laufenden Schäden bei der Huntington-Krankheit zu bewältigen, zumindest bei manchen Menschen

14:36 - Aber wen interessiert das, kann diese Art von Informationen, den Menschen mit der Huntington-Krankheit helfen?

14:37 - Tabrizi ist daran interessiert, ob die Menschen geschult werden können, um diese Kompensationstechniken anzuwenden.

14:38 - Ihre Gruppe hat eine „Neurofeedback“-Studie bei Huntington-Patienten durchgeführt, indem sie sie in ein MRT-Gerät legte und sie trainierte, ihre Gehirnaktivität zu modifizieren

14:39 - Das Training führte zu spezifischen Mustern der Gehirnaktivität und einer verbesserter Leistung bei einer einfachen Bewegungsaufgabe.

14:42 - Tabrizi legt nahe, dass diese Art von Neurofeedback-Studie keine Behandlung für die Huntington-Krankheit ist, sondern eher wie eine „physikalische Therapie für das Gehirn“.

14:53 - Marios Politis, vom Kings College London, setzt ein Gehirn-Scan-Technik namens PET-Scanning ein, um das Gehirn bei der Huntington-Krankheit zu studieren

14:54 - PET verwendet Injektionen von Chemikalien namens „Tracer“, um nach Veränderungen in bestimmten Zelltypen des Gehirns zu suchen.

14:55 - Beispielsweise zeigt ein Tracer Veränderungen in den Zellen, die das Signal- Molekül Dopamin verwenden, während andere die Aktivierung von Immunzellen zeigen

15:08 - **Politis**: PET ist ein mächtiges Werkzeug, aber in der Vergangenheit wurden so viele verschiedene Methoden verwendet, es ist schwierig, sicher zu sein, was bei der Huntington-Krankheit los ist



Dr. Ed Wild, von der UCL (und Mitbegründer von HDBuzz) berichtete über seine Arbeit mit der Verwendung von Rückenmarksflüssigkeit bei der Huntington-Krankheit. Zum ersten Mal haben Wild und Kollegen entdeckt und gemessen, wie viel des mutierten Huntingtin-Proteins in der Flüssigkeit vorhanden ist. Hoffentlich wird dies bei den bevorstehenden „Gen-Stummschaltungs“-Studien helfen.

15:11 - Politis kündigt PETMARK-HD an, eine von der CHDI unterstützte Studie der PET-Bildgebung, die darauf zielt, diese Probleme zu überwinden

15:19 - Politis zeigt die verschiedenen chemischen Gehirn-Systeme, auf die bei PETMARK-HD geschaut wird, siehe <http://t.co/mghXgruyAb>

15:23 - Politis wird PET auch verwenden, um die überlappenden Gehirnetzwerke zu studieren, die bei der Huntington-Krankheit beteiligt sind

16:02 - Ray Dorsey, University of Rochester und Huntington Study Group, gibt einen Überblick über frühere klinische Studien bei der Huntington-Krankheit

16:08 - **Dorsey**: 2014 war bemerkenswert für das frühzeitige Stoppen von 2 großen Studien mangels Nutzen, siehe <http://hdbuzz.net/181> und <http://de.hdbuzz.net/171>

16:09 - Jedoch haben mehrere Studien in diesem Jahr neue Behandlungsmöglichkeiten gezeigt, die zumindest sicher und gut verträglich sind, und viele weitere Studien sind geplant

16:13 - Die Huntington Study Group veröffentlicht die „HD Insights“, die regelmäßig Updates über klinische Studien bei der Huntington-Krankheit bieten, siehe <http://hdinsights.org>

16:17 - Die nächste Generation von Studien, die ab sofort und bald starten, wird für Medikamente sein, die speziell auf bekannte Probleme bei der Huntington-Krankheit ausgerichtet sind

16:37 – Zum Schluß endet Prof. Bernhard Landwehrmeyer mit einem Ausblick auf die anstehenden klinischen Studien

16:38 - **Landwehrmeyer**: Wir testen derzeit Medikamente, die speziell für die Huntington-Krankheit entwickelt wurden

16:40 – Die zukünftigen Studien werden auch durch die Verwendung von Biomarkern gestärkt, um uns klarere Vorstellungen davon zu geben, was funktioniert und was nicht

16:44 Uhr - Es gibt eine Menge Aufregung über die bevorstehende Studie eines „Gen-Stummschaltungs“-Medikamentes von Isis Pharmaceuticals.

16:44 - Aber wir müssen uns daran erinnern, dass sich die Studie hauptsächlich auf die Sicherheit konzentriert

16:49 - **Landwehrmeyer**: Menschen, die nicht an der ersten Gen-Stummschaltungs-Studie teilnehmen, verpassen den Anschluss nicht

16:50 - Wenn sich das Medikament als sicher beweist, werden zukünftige Studien größer sein, und es wird auch weitere neue Medikamente geben

16:57 - Die Amaryllis-Studie untersucht ein Medikament, das auf die Verbesserung der Signalverarbeitung im Gehirn abzielt, indem es die Aktivität eines Enzyms namens PDE10A reduziert

16:59 – Mehr über die Amaryllis-Studie finden Sie hier: <http://www.hdsa.org/research/clinical-trials-1/pfizer-pde10a-inhibitor.html>

17:04 Uhr - In Europa ist ein Studie der Tiefenhirnstimulation (englisch: deep brain stimulation, abgekürzt mit: DBS) geplant, die im Jahr 2015 starten wird - kleine elektrische Schläge auf gezielte Gehirnregionen

17:05 - Hoffentlich wird die DBS eine zusätzliche Behandlungsoption für die Bewegungsprobleme bereitstellen, die nicht auf aktuelle Medikamente reagieren

17:08 - Fazit: Die Studien geschehen - alle Huntington-Familienmitglieder sollten über die Teilnahme nachdenken, damit wir diese Behandlungen SO SCHNELL WIE MÖGLICH getestet bekommen!

---

*Dr. Wild und Dr. Carroll haben Forschungsunterstützung vom Organisator der Konferenz erhalten, der CHDI Foundation. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...*

---

## Glossar

**Tiefenhirnstimulation** Direkte Stimulation des Gehirns, die elektrische Impulse durch winzige Drähte anwendet.

**Parkinson-Krankheit** Eine neurodegenerative Krankheit, die wie die Huntington-Krankheit motorische Koordinationsprobleme beinhaltet

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

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

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

**Therapie** Behandlungen

**Dopamin** Eine signalgebende Chemikalie (Neurotransmitter), die in die Kontrolle der Bewegung, Stimmung und Motivation involviert ist.

**BDNF** brain-derived neurotrophic factor: ein Wachstumsfaktor, der in der Lage sein könnte, die Neuronen bei der Huntington-Krankheit zu schützen

---

© 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 2. Juli 2017 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/191>