

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

Gemeinsam Bäume pflanzen: Die Konferenz der Huntington's Disease Society of America 2016



HDBuzz fasst die Wissenschaft einer ungewöhnlich großen und energiereichen @HDSA Konferenz in Baltimore zusammen

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll am 12. September 2016

Von Dr Jeff Carroll; Übersetzt von Pauline Kleger und Annika Zeller

Ursprünglich veröffentlicht am 13. Juni 2016

Fast tausend HK Familienmitglieder kamen nach Baltimore, Maryland, zur jährlichen Konferenz der Huntington's Disease Society of America (HDSA). Über Patienten und Familien Konferenzen schreiben wir normalerweise keine Berichte, aber die diesjährige Konferenz hatte eine besondere Atmosphäre, die uns verpflichtet ein kurzes Update darüber zu verfassen.

Die Konferenz

Es war die zweitgrößte Konferenz in der Geschichte der HDSA und die HDBuzz Mitbegründer Jeff und Ed waren dort, um über die Forschung zu berichten. Sie können ein YouTube Video unserer Präsentation anschauen und die Tonaufnahme in unserem letzten Podcast anhören. Viele andere Vorträge befinden sich auf der HDSA Webseite.

Klinische Studien

Laut der HD Insights Ausgabe der Huntington Study Group gibt es derzeit **dreizehn** rekrutierende oder anlaufende klinische Studien, manche davon testen Therapien, die speziell für die HK entwickelt wurden, anstatt Medikamente zu testen, die generell gut für das Gehirn sein könnten. Jetzt ist eine unglaubliche Zeit für HK Familien.

Zwei Studien, auf die wir ein besonderes Augenmerk legen, haben wichtige Updates. Bei Teva's **PRIDE-HD** Studie mit Pridopidin, ein neues Medikament zur Behandlung von

Bewegungsstörungen bei der HK, ist die **Rekrutierung vollständig abgeschlossen**. Das gleiche gilt für Pfizer's **Amaryllis** Studie mit PDE-10 Hemmer, der darauf abzielt die Kommunikation zwischen den Neuronen zu verbessern. Eine effiziente Studienrekrutierung ist eine gute Nachricht und ein Beweis dafür, dass die HK-Gemeinschaft sich der Herausforderung stellt.



Die Konferenz 2016 war mit fast 1000 Teilnehmern die zweitgrößte Tagung. Hier beim Vortrag von Robert Pacifici, CHDI Foundation.

Es gibt trotzdem keinen Grund zur Selbstzufriedenheit. Wir müssen versuchen, für alle aktiven Studien so schnell wie möglich zu rekrutieren. Teva's Legato-HD Studie testet mit Laquinimod zum Beispiel ein Medikament, von dem man sich erhofft, dass es das Fortschreiten der Huntington-Krankheit verlangsamt, allerdings benötigt die Studie immer noch **mehr Freiwillige**. Dasselbe gilt auch für einige andere Studien.

Gute Neuigkeiten von der 'Genstummschaltungsstudie'

Ed Wild gab ein Update zur Ionis-HTTRx Studie, das erste Genstummschaltungs- oder Huntingtin-senkende Medikament, das jemals bei Personen mit der HK getestet wurde. Im Namen des Sponsors Ionis Pharmaceuticals berichtet Ed, dass die Studie im September 2015 begonnen hat und 5 Studienzentren daran teilnehmen. In einem exklusiven HDSA Update kündigte er an, dass bisher keine sicherheitsrelevanten Ereignisse auf Grund des Medikaments berichtet wurden und, dass der unabhängige Sicherheitsausschuss der Studie gerade den Start der dritten von vier Dosierungsstufen genehmigt hat. Dies ist die beste Nachricht, die wir in dieser Phase der Studie erwarten konnten und wir sind sehr gespannt auf weitere Updates.

Wo kann ich mich anmelden?

Wie können Betroffene an einer klinischen Studie teilnehmen? In den USA und Kanada ist die Antwort das HDSA TrialFinder System. Man gibt ein paar Basisinformationen ein und innerhalb kürzester Zeit wird eine individuell angepasste Liste von Studien, für die man in der Umgebung geeignet wäre, angezeigt.

Was, wenn ich nicht in Frage komme?

An einer klinischen Studie teilnehmen zu können kann schwer sein, da jede Studie strikte Ein- und Ausschlusskriterien aufweist. Verzweifeln Sie nicht, falls es in Ihrer Nähe keine Medikamentenstudie gibt, an der Sie teilnehmen können. Hier ist ein 3-Schritte-Plan für einen kleinen Lichtblick:

” Wir müssen die Rekrutierung aller aktiven Studien so schnell wie möglich vorantreiben. “

1. **Melden Sie sich bei Enroll-HD an**, eine Plattform um die HK zu verstehen, sowie eine Datenbank zur die Rekrutierung für zukünftige klinische Studien. Nahezu alle HK-Familienmitglieder sind geeignet, auch Personen ohne genetische Testung.
2. **Seien Sie ein Studien-“Wingman“**: verbreiten Sie die Informationen über Studien und Forschung auf Social Media und persönlich an Ihre Freunde und Familie. Können Sie jemandem helfen an einer Studie teilzunehmen, indem Sie ihn zu Terminen begleiten, oder dabei helfen Aktivitäten der Studie zu absolvieren?
3. **Nehmen Sie an Beobachtungsstudien teil** - Dabei handelt es sich um die HK Forschung, die keine neuen Medikamente prüft. Diese Studien sind aber notwendig, weil sie helfen die nächste Generation Therapien und Studien zu finden.

Innovation

Obwohl die HDSA Tagung kein wissenschaftliches Treffen ist, waren wir über die Anzahl und Qualität der neuen innovativen Projekte, die dort vorgestellt wurden, überrascht. Unsere persönlichen Highlights waren:

- Die Vernetzung der **CHDI Foundation** mit IBM's Watson supercomputer platform um die HK zu verstehen, beispielsweise durch die Modellierung des Huntingtin-Protein und wie es durch die HK Mutation betroffen ist.
- Direkt von Dr. David Stamler von Teva Pharmaceuticals zu hören, dass sie unverändert versuchen, **SD809** für die HK zugelassen zu bekommen. SD809 ist eine langsam wirkende Art von Tetrabenazinen zur Behandlung von Überbewegungen bei der HK, für die die FDA vor kurzem mehr Informationen angefordert hat. Stamler war eindeutig: "Die FDA hat die Anwendung nicht abgelehnt ... sie haben um zusätzliche Informationen und Analysen gebeten... es wurden keine Sicherheitsbedenken von der FDA erhoben ... Teva wird alles in ihrer Macht stehende tun, um dieses Medikament so schnell wie möglich auf den Markt zu bringen."
- Azevan Pharmaceuticals' STAIR-Studie untersucht, ob ihr Medikament SRX246 bei dem häufigen und sehr herausfordernden Symptom der HK, **Reizbarkeit**, helfen kann.
- Wave-Life Sciences verpflichtet sich der HK-Gemeinschaft frühzeitig über ihr Vorhaben zu sprechen, ein neues "Gen-Stummschaltungs"-Medikament zu entwickeln, das die Produktion des mutierten Huntingtin-Proteins senken soll. Der Ansatz von Wave zielt darauf ab, eine Eigenart der Chemie zu nutzen. Die meisten Medikamente sind tatsächlich eine Mischung aus "normalen" und "Spiegelbild" Versionen des gleichen Medikaments, die die gleiche Grundstruktur aufweisen, sich aber etwas anders verhalten können. Wave hofft, dass ihre „Stummschaltungsmedikamente“ durch die Beseitigung der Spiegelbild-Versionen stärker werden. Wenn dies funktioniert wird es richtig toll.



In unserer Forschungszusammenfassung ermutigen wir alle HK Familienmitglieder alles daran zu setzen, die Teile des HK Forschungsbaums zu pflegen

Bäume pflanzen

In unserer regelmäßigen Forschungszusammenfassung haben wir die HK Forschung mit einem Baum verglichen, anstatt mit einer "Pipeline", was Sie eventuell schon zuvor gehört haben.

Die weltweite HK-Gemeinschaft bildet die Wurzeln des Baumes; Der Stamm ist die tägliche Grundlagenforschung, die hilft, neue Medikamente zu entwickeln; die Zweige bildet die beobachtende Forschung mit Freiwilligen, die uns hilft, die HK zu verstehen und neue Medikamente zu entwickeln; und die Blätter sind die klinischen Studien, durch die wir diese Medikamente testen können.

Wir mögen dieses Bild, weil alle Teile des Baumes miteinander verbunden und voneinander abhängig sind, um die Früchte zu produzieren, die wir alle brauchen: wirksame Behandlungen für die Huntington-Krankheit. Jeder in der HK-Gemeinschaft hat die Verantwortung, sich um jeden Teil des Baumes zu kümmern, wenn wir diese Behandlungen so schnell wie möglich wollen.

Unsere Präsentation schließt mit dem chinesischen Sprichwort ab:

Die beste Zeit einen Baum zu pflanzen war vor 20 Jahren. Die zweitbeste Zeit ist jetzt.

Ed Wild ist ein Prüfarzt von Legato, Amaryllis und der HTTRx Studie. Er führte bezahlte Beratungstätigkeiten durch für Ionis, Shire und Roche Pharmaceuticals, wo alle Bezahlungen zu seinem Arbeitgeber (UCL) gingen um die HK Forschung zu unterstützen. Dieser Artikel wurde von Jeff Carroll geschrieben und editiert, er hat eine langjährige wissenschaftliche Kollaboration mit Ionis Pharmaceuticals, aber es besteht kein Interessenskonflikt über die Themen, die hier diskutiert wurden. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...

Glossar

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

© HDBuzz 2011-2018. 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 16. Januar 2018 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/219>