

Neuigkeiten aus der Huntington-Forschung.

In einfacher Sprache. Von Wissenschaftlern geschrieben

Für die Huntington-Gemeinschaft weltweit.

[Neuigkeiten](#) [Glossar](#) [Über uns](#)

[Über uns](#)

[Menschen](#) [Häufig gestellte Fragen \(FAQ\)](#) [Rechtslage](#) [Finanzierung](#) [Teilen](#) [Statistiken](#) [Themen](#) [Kontakt](#)

[Folgen](#)

[Folgen](#)

[Twitter](#) [Facebook](#) [RSS Feed](#) [E-Mail](#)

[Durchsuche HDBuzz](#)

Durchsuche HDBuzz



[Deutsch](#)

[Deutsch](#)

[čeština](#) [dansk](#) [Deutsch](#) [English](#) [español](#) [français](#) [italiano](#) [Nederlands](#) [norsk](#) [polski](#) [português](#) [svenska](#) [русский](#) [中文](#)

[Mehr Informationen ...](#)

**Sind Sie auf der Suche nach unserem Logo?** Auf [Teilen](#) können Sie unser Logo sowie Informationen über die Nutzung herunterladen.

## Eine neue Herangehensweise an klinische Studien zur Huntington-Prävention

### Sind Medikamentenstudien vor Ausbruch der Huntington-Krankheit möglich? Neue Forschungsergebnisse sagen "ja"!



Von [Dr Jeff Carroll](#) 30. Oktober 2017 Bearbeitet von [Dr Ed Wild](#) Übersetzt von [Rebecca](#)  
Ursprünglich veröffentlicht am 27. Oktober 2017

Eine neue Analyse der klinischen Daten aus den Studien TRACK-HD und COHORT deckt eine Möglichkeit auf, Medikamentenstudien auch präventiv anzulegen, ohne dass bereits Symptome der Huntington-Krankheit aufgetreten sind.

## Klinische Studien zur Huntington-Krankheit bis heute

Klinische Studien sind Experimente, die in Erfahrung bringen wollen, ob eine Behandlungsmethode den Verlauf oder den Schweregrad der Huntington-Krankheit beeinflussen kann. Die Huntington-Gemeinschaft hat in den vergangenen 20 Jahren sehr viele Studien (fast 100 Stück!) erfolgreich abgeschlossen - einige von ihnen führten zur Identifikation von Medikamenten, die die Symptome verbessern (Tetrabenazin und Deutetrabenazin), aber keine (bisher!) konnte präventiv den Ausbruch der Krankheit verschieben oder ihn ganz verhindern.

Ein Medikament, das die Huntington-Krankheit hinauszögert oder verhindert wäre großartig. Diese neue Arbeit zeigt einen Weg auf, um ein solches Medikament effizient zu testen.

Bisher wurden fast alle Studien an Personen durchgeführt, die bereits Symptome der Huntington-Krankheit zeigten. Nur wenige, kleinere Studien hatten das Ziel bei Menschen, die das mutierte Huntington-Gen tragen, aber noch keine Symptome zeigen, den Ausbruch der Krankheit zu verschieben oder ihm vorzubeugen.

# Was ist ein Endpunkt?

Um zu verstehen warum es schwierig ist solche präventiven Studien durchzuführen - und was die vorliegende neue Veröffentlichung uns sagen will - müssen wir über etwas nachdenken, was man **Endpunkt** nennt. Ein Endpunkt in einer klinischen Studie ist das Ergebnis, das man untersuchen will. Bei vielen Huntington-Studien, die sich auf die Bewegungssymptome konzentrieren, ist der Endpunkt ein bestimmtes Maß dafür, wie gut oder schlecht die Bewegungssymptome einer Person am Ende sind. Andere Endpunkte beziehen sich vielleicht auf andere erfassbare Größen wie Depressionen, die durch stimmungskontrollierende Medikamente verursacht werden oder die eigentliche [Wirksamkeit](#) eines getesteten Medikaments.

Damit eine Studie erfolgreich ist, müssen Wissenschaftler vorher einen Endpunkt festlegen. Danach führen sie die Studie durch, messen den definierten Endpunkt und ziehen daraus Schlüsse, ob die verwandte [Therapie](#) einen Einfluss auf den Endpunkt hatte.

Ein gutes Beispiel ist die kürzlich durchgeführte First-HD Studie zu Deutetrabenazin. Die Wissenschaftler legten vorher fest, dass sie Bewegungssymptome in der Gruppe der untersuchten Huntington-Patienten messen wollen und definierten genau, wie stark die Verbesserungen sein müssten, um die [Therapie als](#) wirksam ansehen zu können. Es zeigte sich am Ende, dass das Medikament diese Verbesserungen und die Studie damit ihren "Endpunkt" erreichte und die FDA ließ das Medikament daraufhin für die Huntington-Krankheit zu.

Nun, stellen Sie sich vor, Sie wollten den Ausbruch der Huntington-Krankheit verschieben oder ihn vollständig ausschließen. Sie untersuchten dann eine Gruppe von Menschen, die das mutierte Gen tragen, aber keine Symptome zeigen. Sie würden diesen Menschen das zu untersuchende Medikament verabreichen... aber was dann? Per Definition zeigen die Personen noch keine Symptome, also können auch keine Symptome gemessen werden. Wie kann man feststellen, ob das Medikament wirkt?

## Lernen von Krebs-Studien

Diese Schwierigkeit gibt es nicht nur bei der Huntington-Krankheit - auf vielen Krankheitsgebieten gibt es ähnliche Herausforderungen bei dem Entwurf präventiver Studien. Bei Krebs, zum Beispiel, ist das Ziel einer neuen Behandlung eventuell eine Operation oder den Tod der Patienten hinauszuzögern. Insbesondere Krebs-Forscher haben diese Art klinischer Studien in letzter Zeit durchgeführt, ihr Ziel wird auch [als Weiterleben ohne Fortschreiten der Krankheit](#) (auf Englisch **Progression-free survival**) genannt.

„Die Wissenschaftler konnten zeigen, dass ein wahrnehmbar wirksames Medikament zur Huntington-Prävention in weniger als 400 Personen getestet werden müsse.“

Die Mathematik hinter diesem Ansatz ist etwas kompliziert, aber die Grundidee ist einfach. Das Ziel einer solchen Studie ist es, die durchschnittliche Zeit zu ermitteln, die es dauert, bis ein vorher definiertes Ereignis eintritt. Bei der Huntington-Krankheit könnte dieses Ereignis die formale Diagnose von Symptomen durch einen Arzt sein. Es könnte auch die Zeit sein, bis etwas anderes - beispielsweise ein festgelegtes Maß an Bewegungsstörungen - eintritt.

Diese Idee auf die Huntington-Krankheit zu übertragen, würde bedeuten, dass zwei Gruppen von Symptom-freien Freiwilligen gebildet würden, von denen eine das zu untersuchende Medikament und die andere einen [Placebo](#) bekäme. Dann würde erfasst werden, wie lange es bei jeder der Gruppen dauert, bis das festgelegte Ereignis eintritt.

In der Theorie klingt das Konzept schon mal gut. Würde es auch in der Realität für die Huntington-Krankheit funktionieren?

## Neue Auswertungen

Erfreulicherweise sind bei der Huntington-Krankheit bereits hervorragende Datenquellen für die Forscher vorhanden, in denen sie stöbern können. Zwei Langzeitstudien von Trägern des mutierten Huntington-Gens - TRACK-HD und COHORT - wurden entworfen, um Veränderungen dieser Personen nachzuvollziehen. Hier wurden auch solche Personen mit einbezogen, die noch keine Symptome zeigen. Auch wenn es einige Unterschiede zwischen diesen beiden Studien gab, war das Grundkonzept ähnlich genug, um nützliche Vergleiche anzustellen.

Eine Gruppe von Forschern, angeführt von Jeff Long (University of Iowa) und Sarah Tabrizi (University College London), entschied sich dazu, diese vorhandenen Datenmengen heranzuziehen, um zu verstehen, ob eine Studie zum **Weiterleben ohne Fortschreiten der Krankheit** im Falle der Huntington-Krankheit funktionieren könnte.

Es ging dabei also nicht darum ein neues Medikament zu testen, sondern die Daten von TRACK-HD und COHORT in einer Art Machbarkeitsstudie zu nutzen, um aufzuzeigen, was passieren würde, wenn ein geeignetes Medikament existierte und welche die Auswirkungen sein könnten, ob kleiner oder größer.

Bezogen auf ihre Erfahrungen aus anderen Huntington-Studien, gingen die Wissenschaftler davon aus, dass eine Studie, die diese neuen Endpunkte setzt, drei Jahre dauern würde und das etwa eine von zehn teilnehmenden Personen die Studie abbrechen würde. Mit diesen Annahmen gelang es den Forscher zu zeigen, dass ein wahrnehmbar wirksames Medikament zur Huntington-Prävention in weniger [als](#) 400 Menschen getestet werden müsste. Diese Menge scheint aus derzeitiger Sicht gut erreichbar zu sein.

Wir müssen klinische Studien sorgfältig konzipieren, sodass eine effektive Wirkung von Medikamenten an der kleinstmöglichen Menge von Personen getestet wird und das über die kürzest-mögliche Zeitdauer hinweg.

## Welche Informationen kann man mit nach Hause nehmen?

Diese neue Auswertung lehrt uns zwei wichtige Dinge. Erstens ist es sehr wichtig, dass Huntington-Familien weiterhin wann immer sie können an Studien teilnehmen. Die Teilnehmer der TRACK-HD- und COHORT-Studien wussten nicht, dass es einmal eine solche neue Analyse ihrer zur Verfügung gestellten Daten geben würde. Der Fortschritt der Wissenschaft beschleunigt sich dadurch, dass sich Datenmengen anhäufen und alles, was wir daraus über die Huntington-Krankheit lernen hilft dabei, weiter voranzukommen, neue Werkzeuge und neue Erkenntnisse aufzudecken.

Zweitens stellt diese Forschungsarbeit einen ausgezeichneten Beweis dafür auf, dass die Huntington-Gemeinschaft in der Lage wäre, eine Studie zum **Weiterleben ohne Fortschreiten der Krankheit** durchzuführen. Die Gemeinschaft hat nämlich schon einige Studien der Größe von etwa 400 Teilnehmern gestemmt - und somit potenziellen Sponsoren die Machbarkeit demonstriert.

Währenddessen geht die Suche nach einem Medikament, das auf die vorgeschlagene Art und Weise untersucht werden kann, weiter. Dieses und nächstes Jahr sind sehr aufregend in Bezug auf solche Medikamente - insbesondere Huntington-verniedernde Substanzen. Hoffentlich wird es also nicht lange dauern, bis eine neue Studie genau nach dem beschriebenen Muster durchgeführt werden kann.

Dr. Ed Wild, der diesen Artikel herausgegeben hat, ist einer der leitenden Wissenschaftler am UCL Huntington's Disease Centre, wo Prof. Tabrizi, die Seniorautorin der beschriebenen Forschungsarbeit, tätig ist. Dr. Wild war nicht an den Forschungsarbeiten beteiligt und besprach diesen Artikel nicht mit Prof. Tabrizi oder anderen Personen, die an der Forschungsarbeit beteiligt waren. [Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...](#)



Erfahren Sie mehr

[Der original Artikel in JAMA Neurology von Long und Kollegen. \(Zugriff auf den gesamten Artikel erfordert Kauf oder Abschluss eines Abonnements\)](#)

Themen

[Beobachtungsstudie](#) [Medikamentenentwicklung](#) [klinische Studie](#)

[Mehr ...](#)

Verwandte Artikel

## [UniQure will die Huntington-Krankheit mit einem Virus besiegen - und macht wichtige Fortschritte](#)

**31. Januar 2019**

## [Fortschritte an vielen Fronten im Kampf gegen das Eiweiß, das die Huntington-Krankheit verursacht](#)

**5. Dezember 2018**

## [Enttäuschende Neuigkeiten von Legato-HD-Studie und Laquinimod bezüglich der Huntington-Krankheit](#)

**22. August 2018**

[Vorherige](#)[Nächste](#)

- Glossar
- **Wirksamkeit** Ein Maßstab, ob eine Therapie wirkt.
- **Therapie** Behandlungen
- **Placebo** Ein Placebo ist ein Scheinmedikament, das keine Wirkstoffe enthält. Der Placeboeffekt ist ein psychologischer Effekt, der verursacht, dass sich Menschen besser fühlen, auch wenn sie eine Tablette einnehmen, die nicht wirkt.
- **ALS** Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.
- [Lesen Sie weitere Definitionen im Glossar](#)

Neuigkeiten aus der Huntington-Forschung.

In einfacher Sprache. Von Wissenschaftlern geschrieben

Für die Huntington-Gemeinschaft weltweit.

## HDBuzz

[Neuigkeiten](#)

[Ältere Sonderbeiträge](#)

[Über uns](#)

[HDBuzz Finanzierungspartner](#)

[Diese Seite enthält Inhalte von HDBuzz](#)

[\\*\\*new\\_to\\_research\\*\\*](#)

## Menschen

[\\*\\*meet\\_the\\_team\\*\\*](#)

[\\*\\*help\\_us\\_translate\\*\\*](#)

## Folgen Sie HDBuzz

Melden Sie sich für unsere monatliche Zusammenfassung per E-Mail an, indem Sie Ihre E-Mail-Adresse unten eingeben. Weitere Optionen erhalten Sie unter [Mailingliste](#)

  

© HDBuzz 2011-2019. Die Inhalte von HDBuzz können unter der [Creative Commons Lizenz](#) frei verbreitet werden.

HDBuzz ist keine Quelle für medizinische Ratschläge. Bitte lesen Sie unsere [Nutzungsbedingungen](#) für weiterführende

Informationen.

© HDBuzz 2011-2019. 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 13. April 2019 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/247>

Manche Textteile auf dieser Seite sind noch nicht übersetzt worden. Der Text wird unten in der Originalsprache angezeigt. Wir arbeiten daran, den gesamten Inhalt so schnell wie möglich zu übersetzen.