



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](#)

 

 [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.

Neue Zusammenarbeit soll die Zulassung von Medikamenten gegen die Huntington-Krankheit beschleunigen

"Critical Path Institute" ruft Initiative zur Beschleunigung von Huntington-Medikamentenentwicklung ins Leben



Von [Dr Jeff Carroll](#) 10. Mai 2018 Bearbeitet von [Dr Ed Wild](#) Übersetzt von [Rebecca](#)
Ursprünglich veröffentlicht am 9. Mai 2018

Kürzlich meldete das "Critical Path Institute" ein neues Projekt - die Gründung des "Huntington's Disease Regulatory Science Consortium", kurz "HD-RSC". Es handelt sich um eine Zusammenarbeit von vielen internationalen Partnern, die die Entwicklung neuer Behandlungen gegen die Huntington-Krankheit beschleunigen soll. Was verbirgt sich dahinter und wie kann damit den Huntington-Patienten geholfen werden?

Was ist das "Critical Path Institute"?

Das "Critical Path Institute" ist vielen Mitgliedern der Huntington-Gemeinschaft wahrscheinlich neu, aber dieses Institut hat bereits viel Erfahrung im Kampf gegen Krankheiten.

Regulierungsbehörden wie die FDA und die EMA brauchen sehr genaue Nachweise, bevor sie Medikamente zulassen können. Das HD-RSC soll daran arbeiten, deren Erbringung zu beschleunigen.

Im Jahr 2004 startete die US-amerikanische Lebensmittel- und Medikamentenbehörde (englisch: Food and Drug Administration, kurz: FDA) ein Projekt, um das Entwickeln von neuen Therapien zu modernisieren und schneller voranzutreiben. Ein Resultat des Projektes ist das im Jahr 2005 von der FDA gegründete und finanzierte Critical Path Institute (kurz: C-Path), dass das Ziel verfolgt,

Forschung und Entwicklung zu beschleunigen und Kosten einzusparen.

Um seine Arbeit zu tun, stellt C-Path eine Verbindung zwischen Organisationen her, die sich mit einem speziellen Problem beschäftigen und bildet Arbeitsgruppen. Solche **C-Path-Konsortien** stimmen ihre jeweiligen Studien dann sinnvoll miteinander ab und entwickeln gemeinsam neue Ansätze, um die Qualität ihrer Untersuchungen zu verbessern.

Beispielsweise hat C-Path ein Konsortium, das sich mit Alzheimer beschäftigt, es heißt **Critical Path for Alzheimer's Disease**, kurz: **CPAD**. Dieses Konsortium, das aus Behörden, Medikamentenherstellern, Wissenschaftlern und Patientenvertretern besteht, arbeitet daran mithilfe von neuen Ideen, die Entwicklung von Therapien gegen Alzheimer zu beschleunigen.

Was machen C-Path-Konsortien?

Wie sollen Arbeitsgruppen wie CPAD klinische Studien verbessern? Zum Beispiel, hat CPAD ein komplexes Computermodell entwickelt, das das Fortschreiten von Alzheimer dokumentiert, indem eine riesige Menge bestehender Informationen über die Patienten zusammengefügt wird.

Klinische Studien in Bezug auf die Alzheimer-Erkrankung werden von einer Vielzahl verschiedener Organisationen durchgeführt, die ihre Daten nicht immer miteinander teilen. An dieser Stelle übernimmt das CPAD. Sie sind darauf spezialisiert, Informationen über die Krankheit von Medikamentenherstellern und Wissenschaftlern auf der ganzen Welt zu sammeln. So kann der Computer von C-Path basierend auf realen Daten von dutzenden Medikamentenstudien es den Organisationen ermöglichen, sich neue Ansätze zu erarbeiten und ihre geplanten Studien zu simulieren. Es ist wie ein digitaler Testlauf.

Jede Organisation mit einem möglichen neuen Alzheimer-Medikament kann also zunächst einmal einige Zahlen zur vermuteten **Wirksamkeit** in das Programm eintippen und eine Rückmeldung dazu erhalten, wie groß die Erfolgsaussichten für ihr Vorhaben sind. Dadurch kann im Vorfeld leichter bestimmt werden, wie viele Patienten beispielsweise an der Studie teilnehmen sollen oder welche und wie viele unterschiedliche Gruppen untersucht werden sollen.

C-Path-Konsortien sind auch andere Hindernisse für die schnelle Durchführung von klinischen Studien angegangen. Sie haben zum Beispiel Wissenschaftlern dabei geholfen, neue **Biomarker** zu identifizieren, um klinische Studien zu vereinfachen und zu verkürzen.

Es gibt verschiedene Arten von Biomarkern. Sie bieten die Möglichkeit, über präzise Messungen das aktuelle Stadium einer Krankheit festzustellen - bei der Huntington-Krankheit könnte dies ein Scan des Gehirns sein. Gleichzeitig können sie auch Auskunft darüber geben, wie gut ein Medikament wirkt.

Aufgrund seiner Geschichte und seiner Mitgliedschaft kennt sich C-Path sehr gut mit regulierenden Behörden wie der FDA oder der "European Medicines Agency" ("EMA") aus und weiß, wie die Freigabe neuer Medikamente abläuft. Es ist daher in der Lage, die wissenschaftlichen Erkenntnisse aus der Forschung in Messungen und Ergebnisse umzuwandeln, die die Behörden benötigen, um feststellen zu können, ob Medikamente verträglich und wirksam sind.

C-Path's neuestes Konsortium: HD-RSC

„Es ist daher in der Lage, die wissenschaftlichen Erkenntnisse aus der Forschung in Messungen und Ergebnisse umzuwandeln, die die Behörden benötigen, um feststellen zu können, ob Medikamente verträglich und wirksam sind.“

Vor kurzem wurde offiziell der Start des **Huntington's Disease Regulatory Science Consortium**, kurz: **HD-RSC** verkündet. Dieses Konsortium wurde gemeinsam mit der CHDI-Stiftung ins Leben gerufen. CHDI ist eine gemeinnützige Organisation, die sich der Entwicklung von Behandlungen gegen die Huntington-Krankheit gewidmet hat.

Im HD-RSC wirkt eine große Anzahl von Teilnehmern mit, neben C-Path und der CHDI sind das zehn Pharmaunternehmen (wie Roche, Sanofi, Teva, Wave Life Sciences und weitere), Zulassungsbehörden und Patientenvertreter (beispielsweise das Europäische Huntington-Netzwerk EHDN). Diese unterschiedlichen Organisationen haben jeweils ihre eigenen Fachkenntnisse und Interessen, jedoch sind alle von ihnen aktiv an der Entwicklung neuer Huntington-Therapiemöglichkeiten beteiligt.

Letzten November haben Stellvertreter dieser Organisationen in Silver Spring, Maryland das erste Treffen abgehalten. Meine Wenigkeit hat [als](#) HDBuzz-Autor daran teilgenommen, um einen Eindruck davon zu gewinnen, was von HD-RSC zu erwarten ist. Zwei Tage lang stellten dutzende Teilnehmer ihre Ideen und Verbesserungsvorschläge vor (das Programm ist verlinkt).

Aufregenderweise nahmen auch hohe Vertreter der FDA, inklusive dem Stellvertretenden Direktor, Eric Bastings, und dem Abteilungsleiter der Abteilung für Neurologie, Billy Dunn, teil. Sie sind für die Bewertung neu getesteter Medikamente verantwortlich. Sie standen nicht im Hintergrund, sondern saßen in der ersten Reihe, machten sich Notizen und stellten Fragen. Es scheint, [als](#) haben sie die Huntington-Krankheit verstanden und ein Interesse entwickelt, die Tätigkeiten des HD-RSC zu unterstützen. Im Konsortium wird mal wieder der Teamgeist und die Entschlossenheit der Huntington-Gemeinschaft deutlich.

[Als](#) das Treffen zu Ende ging, hatten sich aus den Teilnehmern fünf Themenarbeitsgruppen gebildet. Eine davon beschäftigt sich beispielsweise mit Biomarkern.

Das HD-RSC setzt sich auch mit der Gestaltung von Studien für Genträger auseinander, bei denen die Huntington-Krankheit noch nicht ausgebrochen ist.

Die Huntington-Symptome aufzuhalten, bevor sie auftreten, wäre in unser aller Sinn, allerdings ist es nicht so einfach, festzustellen, wie eine geeignete Studie aussehen könnte und wie mögliche Erfolge überhaupt bemerkt werden könnten.

Zusammenfassung

Wir betreten eine neue Phase des Engagements gegen die Huntington-Krankheit. Dies zeigt sich in der Bildung von Gruppen wie dem HD-RSC, denn die Huntington-Krankheit rückt in den Fokus von Spezialisten und erhält organisationsübergreifende Aufmerksamkeit. Die Zeiten, in denen so mancher die Angst hegte, dass sich niemand darum kümmert, sind vorbei. Vielmehr scheint sich die Krankheit zu einem schwierigen, aber lösbaren Problem entwickelt zu haben, das aktuell von großem Interesse ist. Wir werden Sie über die neuen Ideen des HD-RSC auf dem Laufenden halten.

Dr. Ed Wild, der diesen Artikel bearbeitet hat, ist ein unbezahltes Mitglied des HD-RSC Coordinating Committee. [Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...](#)



Erfahren Sie mehr

[Link zu den Präsentationen ersten des HD-RSC-Treffens](#) [Link zur Pressemitteilung von C-Path und CHDI](#) [Link zum zusammenfassenden Bericht des ersten Treffens](#)

Themen

[Medikamentenentwicklung Biomarker](#)

[Mehr ...](#)

Verwandte Artikel

[Huntington's Disease Therapeutics Conference 2019 - Tag 2](#)

10. März 2019

[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

[Vorherige](#)[Nächste](#)

- Glossar
- **Wirksamkeit** Ein Maßstab, ob eine Therapie wirkt.
- **Biomarker** Irgendeine Art von Test - inklusive Bluttest, Gedächtnistest und Gehirnsan - der den Fortschritt einer Krankheit wie der Huntington-Krankheit messen oder vorhersagen kann. Biomarker können klinische Studien von neuen Medikamenten schneller und verlässlicher machen.
- **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](#)

Frei lassen



© 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

Erstellt am 13. April 2019 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/259>

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.