

Medikament zur Behandlung einer neurologischen Krankheit soll nun auch an Huntington-Patienten getestet werden

Noch während der Entwicklung eines Medikamentes namens Branaplam gegen SMA, entdeckt die Firma Novartis, dass es möglicherweise auch Huntington-Patienten helfen könnte

Von Dr Rachel Harding | 24. Oktober 2020 | Bearbeitet von Dr Leora Fox
Übersetzt von Rebecca | Ursprünglich veröffentlicht am 22. Oktober 2020

Während der Entwicklung eines Medikamentes namens Branaplam für Patienten mit spinaler Muskelatrophie (SMA), hat die Firma Novartis nun festgestellt, dass es auch für Menschen mit der Huntington-Krankheit von Nutzen sein könnte. Die amerikanische Zulassungsbehörde FDA hat dem Medikament den Status "Orphan-Arzneimittel" gegeben.

Ein fertiges Medikament... für die Huntingtin-Verminderung?

Der Farmakonzern Novartis meldete, dass die FDA dem Medikament Branaplam den Orphan-Arzneimittel-Status für die Behandlung der Huntington-Krankheit gegeben hat.

Branaplam wurde zur Behandlung der neurologischen Erkrankung spinale Muskelatrophie (SMA) entwickelt und befindet sich zu diesem Zweck immernoch in klinischen Studien. Branaplam beeinflusst die Verarbeitung von genetischen Botschaften in Zellen und kann das Niveau eines Proteins namens SMN2 in Zellen anheben. Eine größere Menge SMN2 hilft SMA-Patienten, denn bei ihnen liegt ein zu geringes Level desselben vor, was vielfach die Ursache der Krankheit ist.

Interessanterweise, zeigte sich, dass Branaplam auch den Gehalt an Huntingtin-BotenRNA und dem Huntingtin-Eiweiß herabsetzt. Genau das, was Huntingtin-Verminderungstherapien gerade versuchen zu erreichen, mit denen viele Forscher und Firmen hoffen, die Huntington-Krankheit behandeln zu können.

Die Huntingtin-Verminderungstherapien, die sich derzeit in klinischen Studien befinden, müssen über Lumbalpunktion verabreicht werden. Branaplam hingegen ist ein Medikament aus kleinen Molekülen, das in Tablettenform eingenommen werden kann. Wenn es Novartis gelingt zu zeigen, dass Branaplam wirksam gegen die Huntington-Krankheit ist, würde das

bedeuten, dass die Patienten nur Tabletten einnehmen müssten, eine weitaus angenehmere Option als eine Lumbalpunktion!

Orphan-Azneimittelstatus - und was kommt danach?

Die Entscheidung der FDA, den Orphan-Status zu vergeben, geschieht meist dann, wenn ein Medikament für eine seltene Erkrankung entwickelt wird, wie etwa die Huntington-Krankheit. Durch diesen Status erhält die Firma, die den Wirkstoff entwickelt hat, in diesem Fall Novartis, Vorteile, sodass sich die Arbeit lohnt, auch wenn nur ein sehr kleiner Markt dahinter steht.

Es gibt noch eine Menge Unklarheiten für die Forscher. Wenn das Medikament in Tablettenform verabreicht wird, ist davon auszugehen, dass es im ganzen Körper wirkt, nicht nur im Gehirn. Was dadurch hervorgerufen wird, ist noch nicht bekannt. Zusätzlich ist bereits bekannt, dass Branaplam sowohl auf SMN2 als auch auf Huntingtin einen Einfluss nimmt, wahrscheinlich noch auf weitere Proteine. Die genauen Auswirkungen sind noch nicht bekannt. Ohne ein Verständnis des zugrundeliegenden Arbeitsmechanismus von Branaplam, kann so keine Vorhersage für die Wirkung bei Huntington-Patienten getroffen werden. Immerhin wurde bereits in einer Phase-I-Studie an einer kleinen Gruppe von SMA-Patienten die Sicherheit des Medikamentes demonstriert.

Novartis konzipiert gerade eine Phase-II-Studie für Huntington-Patienten, die im Jahr 2021 beginnen soll. Wir hoffen, dass wir bald Neuigkeiten davon berichten können!

Dr. Rachel Harding erklärt, dass sie keine Interessenskonflikte hat. Dr. Leora Fox arbeitet für die Huntington's Disease Society of America (HDSA). Die HDSA hat Kontakte zu und ein Verschwiegenheitsabkommen mit der Firma Novartis, um die es in diesem Artikel geht. [Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...](#)

GLOSSAR

ALS Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

© HDBuzz 2011-2020. 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 30. Oktober 2020 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/294>

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.

