

Liegt im Blutvolumen im Gehirn der Schlüssel zur früheren Überprüfbarkeit möglicher Behandlungen von Huntington?

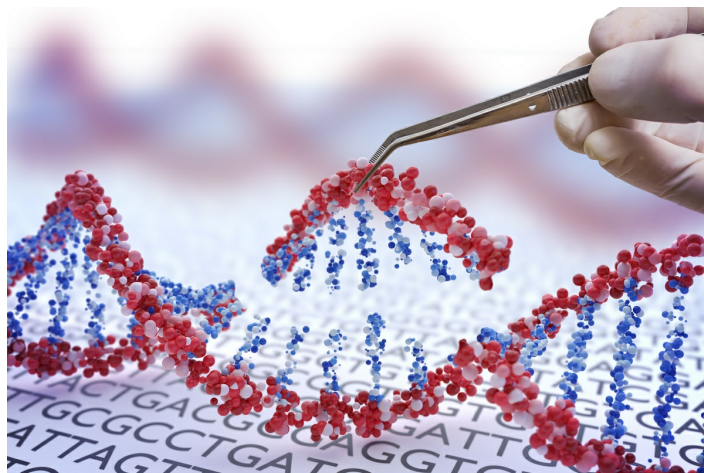
Neue Studie der Johns Hopkins Universität beschreibt nicht-invasive Möglichkeit, Fortschreiten der Huntington-Krankheit zu messen; Potentielle Wirksamkeitsüberprüfung von Behandlungen auch bevor Patienten Symptome zeigen.

Von Dr Rachel Harding | 10. August 2021 | Bearbeitet von Dr Jeff Carroll
Übersetzt von Rebecca | Ursprünglich veröffentlicht am 4. August 2021

Wissenschaftler der Johns Hopkins Universität unter der Leitung von Wenzhen Duan haben eine nicht-invasive Möglichkeit untersucht, das Fortschreiten der Huntington-Krankheit noch vor dem Auftreten von Bewegungssymptomen nachzuvollziehen. Anhand von MRT-Hirnschans konnten die Forscher präzise die Menge an Blut im Gehirn von Labormäusen messen. Diese Art von Messung schlagen sie nun als Biomarker für Huntington vor.

Handelt es sich beim Blutvolumen um einen geeigneten Biomarker?

Gute Durchblutung ist sehr wichtig für ein gesundes Gehirn, denn sie sorgt für die Sauerstoff- und Nährstoffzufuhr. Durch eine schwachen Durchblutung können Hirnzellen beschädigt werden und absterben. Menschen mit Huntington zeigen ein bedeutend geringeres Blutvolumen im Gehirn im Vergleich zu gesunden Menschen.



Die CRISPR-Technologie erlaubt einen präzisen Schnitt an einer spezifischen Stelle in der DNA. In der vorliegenden Studie wurden Huntington-Mäuse mit CRISPR behandelt. Beide

Allele des Huntington-Gens wurden stummgeschaltet und es konnten Linderungen der Symptome beobachtet werden.

In ihrer Studie berechnete Duan's Team mithilfe von MRT-Aufnahmen das exakte Blutvolumen in Gehirnen von Huntington-Mausmodellen. Dabei zeigte sich eine Veränderung des Volumens im Laufe des Lebens der Maus. Auch als die Mäuse noch jung waren und noch keine Bewegungsstörungen zeigten, war bei ihnen die Blutmenge bereits geringer als bei gesunden Mäusen, die kein mutiertes Huntington-Gen aufweisen. Das führte die Forscher zu der Annahme, dass es sich bei einer solchen Messung um einen guten Biomarker für Huntington handeln könnte.

Kann das Blutvolumen anzeigen ob Huntington-Medikationen wirken?

Die Wissenschaftler untersuchten auch den Einfluss einer CRISPR-Behandlung der Huntington-Mäuse auf deren Blutvolumen im Gehirn. CRISPR wurde in diesem Fall eingesetzt, um sowohl das mutierte als auch das gewöhnliche Huntington-Gen bei den Mäusen stumm zu schalten, ähnlich wie es bei laufenden klinischen Studien für menschliche Patienten untersucht wird (geführt von Novartis, uniQure und anderen).

Sie konnten - wie erwartet - beobachten, dass durch die Therapie mit CRISPR, der Ausbruch von Symptomen verzögert werden konnte. Zusätzlich gelang es ihnen hier aber auch, eine Korrelation mit dem Hirnblutvolumen zu zeigen. Das bedeutet, dass die Wirksamkeit von CRISPR nicht erst durch das Ausbleiben von Symptomen gemessen werden kann, sondern dank der MRT-Scans bereits lange davor.

Es sieht gut aus für Mäuse, aber wie ist es mit Menschen?

Während die Änderung des Blutvolumens im Gehirn von Mäusen wahrscheinlich ein Abbild der Vorgänge in menschlichen Gehirnen sein kann, ist es noch nicht erwiesen, dass die menschliche Hirnstruktur eine ähnliche Methode zulässt. Es wird hierzu klinische Studien geben müssen. Für die künftigen Teilnehmer solcher Studien wird es jedenfalls angenehmer sein, MRT-Scans aufnehmen zu lassen, als sich beispielsweise Nervenwasser abnehmen zu lassen. Es besteht die Hoffnung, dass irgendwann in der Zukunft die Träger der mutierten Huntington-Gens bereits früh vor Schäden durch die Krankheit geschützt werden können und dass die Wirksamkeit dieses Schutzes mithilfe von MRT bestätigt werden kann. Wir werden weiterhin am Ball bleiben.

Die Autoren haben keine Interessenskonflikte offenzulegen. [Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...](#)

GLOSSAR

Wirksamkeit Ein Maßstab, ob eine Therapie wirkt.

Biomarker Irgendeine Art von Test - inklusive Bluttest, Gedächtnistest und Gehirnscan - der das Fortschreiten einer Krankheit wie der Huntington-Krankheit messen oder vorhersagen kann. Biomarker können klinische Studien von neuen Medikamenten schneller und verlässlicher machen.

Therapie Behandlungen

CRISPR Ein System zur DNA-Bearbeitung auf präzise Weise

ALS Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

© HDBuzz 2011-2021. 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 26. September 2021 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/309>

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.