

Jahresrückblick 2024

Zu Beginn des Jahres 2025 blicken wir auf alle Neuigkeiten und Fortschritte in der Huntington-Forschung der letzten 12 Monaten zurück.



Von Dr Rachel Harding

3. Januar 2025

Bearbeitet von Dr Sarah Hernandez

Übersetzt von Rebecca

Ursprünglich veröffentlicht am 2. Januar 2025

Während wir uns von 2024 verabschieden, blickt das HDBuzz-Team auf ein Jahr zurück, das von bedeutenden Fortschritten, Herausforderungen und Hoffnungen geprägt war. Von Durchbrüchen am Labortisch und in der Medikamentenentwicklung, von sowohl Stolpersteinen als auch Triumphen in klinischen Studien haben wir neue Erkenntnisse über die Mechanismen der Huntington-Krankheit gewonnen und große Fortschritte bei der Suche nach Medikamenten gemacht, die diese Krankheit verlangsamen oder stoppen könnten. Neben diesen Entwicklungen hat die Huntington-Gemeinschaft die Kraft der Zusammenarbeit, Interessenvertretung und Innovation erlebt, um die Forschung voranzutreiben und die Versorgung zu verbessern. Dieser Jahresrückblick beleuchtet die Schlüsselmomente und Meilensteine, die das Jahr 2024 für die Huntington-Forschung geprägt haben.

Eine neue Generation von Stimmen bei HDBuzz

HDBuzz ist seit über 14 Jahren eine vertrauenswürdige Quelle für unvoreingenommene, zugängliche Informationen über die Huntington-Forschung und klinische Studien und hilft Huntington-Familien, die Antworten suchen und sich über die neuesten wissenschaftlichen Fortschritte informieren möchten. In diesem Jahr übergaben die HDBuzz-Gründer Ed Wild und Jeff Carroll den Staffelstab an eine neue Generation von Redakteuren, angeführt von Rachel Harding und Sarah Hernandez, um HDBuzz durch diese aufregende neue Ära klinischer Huntington-Studien und anderer Forschungen zu führen.



Das HDBuzz-Team war in diesem Jahr damit beschäftigt, von verschiedenen Forschungskonferenzen zur Huntington-Krankheit zu berichten und euch die neuesten Forschungsupdates zu bringen.

Quelle: Meghan Donaldson, HDF

Zusätzlich zu unserem neuen Redaktionsteam haben wir viele neue Stimmen aus verschiedenen Regionen, Hintergründen, wissenschaftlichen Ausbildungen und Karrierestufen in unserem Autorenteam willkommen geheißen. Die Tatsache, dass unsere Autoren mehrere Standpunkte vertreten, stellt sicher, dass Huntington-Familien Inhalte erhalten, die das abdecken, was das Huntington-Feld denkt. Zu diesem vielfältigen Autorenteam gehören unsere wunderbaren Wettbewerbsgewinnerinnen Zanna Voysey, Molly Gracey, Jenny Lange und AJ Keefe.

Updates auf Konferenzen von Experten aus aller Welt

Das HDBuzz-Team ist weit und breit zu verschiedenen Konferenzen und Treffen gereist, auf denen die neuesten Updates zur Huntington-Forschung und die Fortschritte in verschiedenen klinischen Studien von weltweiten Experten auf dem Gebiet der Huntington-Krankheit sowohl aus der akademischen Welt als auch aus der Industrie präsentiert werden. Viele der Updates, die in diesen Treffen vorgestellt werden, sind noch nicht offiziell in Peer-Review-Zeitschriften veröffentlicht, was bedeutet, dass wir Ihnen die neuesten Daten und Forschungsergebnisse zur Huntington-Krankheit liefern können.

Im Jahr 2024 umfassten diese Treffen die CHDI Huntington's Disease Therapeutics Conference in Palm Springs, das Hereditary Disease Foundation Milton Wexler Biennial Symposium in Boston und das Huntington Study Group Meeting in Cincinnati. Alle diese Treffen hatten ein hervorragendes Programm von über 100 Vorträgen, Podiumsdiskussionen und Diskussionen über die heißesten Themen der Huntington-Forschung. Wir freuen uns, Ihnen Anfang 2025 auf der nächsten CHDI-Tagung weitere Updates zu bringen.

Grundlagenforschung

Somatische Instabilität

„2024 war ein Jahr, in dem viele Durchbrüche in unserem Verständnis der somatischen Instabilität erzielt wurden.“

Ein heißes Thema in der Huntington-Forschung der letzten Jahre ist die somatische Instabilität, und 2024 erwies sich als ein Jahr, in dem viele Durchbrüche in unserem Verständnis dieses Phänomens erzielt wurden. Somatische Instabilität ist die Tendenz der CAG-Repeat-Sequenz im Huntington-Gen, sich in bestimmten Zellen des Körpers im Laufe der Zeit weiter auszudehnen. Eine Theorie, die viele Huntington-Forscher untersuchen, ist, dass Zellen im Gehirn mit stärkerer Instabilität des Gens, d. h. stärkerer Expansion, mit größerer Wahrscheinlichkeit krank werden und somit das Fortschreiten der Krankheit vorantreiben. Die Verlangsamung oder sogar Umkehrung der CAG-Expansion durch Manipulation der Art und Weise, wie DNA verarbeitet und "gepflegt" wird, könnte der Schlüssel auf dem Weg zur Nutzung dieser Theorie in der Klinik sein.

Das Jahr 2024 begann mit einigen faszinierenden Studien, in denen untersucht wurde, wie sich die CAG-Zahl in verschiedenen Zelltypen im Gehirn von Menschen mit der Huntington-Krankheit, die verstorben sind, verändert. Anhand dieser wertvollen Proben konnten die Wissenschaftler genau herausfinden, welche Zellen von somatischer Instabilität betroffen sind und wie dabei verfolgt wird, welche Zellen im Gehirn von Menschen mit der Huntington-Krankheit im Laufe der Zeit krank werden und sterben. Diese granulare Ebene der Einsicht hilft uns, genau zu entschlüsseln, was bei der Huntington-Krankheit vor sich geht, und wird nur durch die selbstlose Entscheidung von Menschen mit der Huntington-Krankheit ermöglicht, ihr Gehirn nach ihrem Tod für die Forschung zu spenden.

Die CAG-Expansion ist nicht nur ein Merkmal der Huntington-Krankheit, sondern tatsächlich eine ganze Klasse von Krankheiten, die als CAG-Wiederholungsstörungen bezeichnet werden und zu denen unter anderem die spinale bulbäre Muskelatrophie und einige Arten von spinocerebellären Ataxien gehören. Angesichts der Parallelen in den genetischen Grundlagen dieser Krankheiten haben wir in diesem Jahr viel über die Huntington-Krankheit gelernt durch laufende Forschungen zu Ataxien.

Andere Forschungsteams waren in diesem Jahr damit beschäftigt, die genauen molekularen Konsequenzen der somatischen Expansion in verschiedenen Modellen der Huntington-Krankheit zu untersuchen. Ein Team fand heraus, dass Veränderungen der CAG-Zahl durch somatische Expansion die Art und Weise verändern können, wie genetische Nachrichten zerstückelt und neu organisiert werden, ein Prozess, der als Spleißen bezeichnet wird. Eine andere Gruppe untersuchte genau, wie lange eine CAG-Zahl in Mausmodellen der Huntington vorhanden sein muss, damit Zellen im Gehirn krank werden.

Zelluläre Einblicke

Neben der somatischen Instabilität sind Forschungsteams auf der ganzen Welt damit beschäftigt, andere Bereiche der Huntington-Biologie zu erforschen. Eine Reihe von Teams haben sich die Blut-Hirn-Schranke angesehen, eine Schutzschicht, die das Gehirn schützt, die es aber auch erschweren kann, Medikamente ins Gehirn zu bringen, um Krankheiten wie Huntington zu behandeln. Fortschritte in der Stammzellforschung bedeuten, dass Wissenschaftler jetzt Modelle dieser Barriere aus Zellen in einer Schale herstellen können.



Somatische Instabilität, also wie sich eine CAG-Wiederholung in einigen Zellen im Laufe der Zeit verändern könnte, war in diesem Jahr ein großes Thema in der Huntington-Forschung. Wissenschaftler waren damit beschäftigt, herauszufinden, wie es dazu kommt und wie sie Medikamente entwickeln könnten, um diesen Prozess zu manipulieren.

Neben der Herstellung dieser Barrierestrukturen in Schalen können Wissenschaftler auch komplexe 3D-Organisationen von menschlichen Nervenzellen herstellen, die als Mini-Gehirne bezeichnet werden. Diese Strukturen, die aus Stammzellen gewonnen werden, sind vielversprechend, um uns zu helfen, die Huntington-Krankheit in lebenden menschlichen gehirnähnlichen Organen zu verstehen, und ebnen möglicherweise einen Weg für Zellersatztherapien.

Auch in diesem Jahr haben wir viel über die cool aussehenden sternförmigen Nervenzellen gelernt, die Astrozyten genannt werden. Diese Zellen sind wichtig für die Gesundheit des Gehirns und scheinen eine Rolle dabei zu spielen, wie Zellen im Gehirn von Menschen mit der Huntington-Krankheit verloren gehen. Auch diese Forschung wurde durch Hirnspenden ermöglicht.

In der Pipeline

Huntington-Wissenschaftler sind immer auf der Suche nach innovativen Wegen, um zu verfolgen, wie sich die Huntington-Symptome einer Person entwickeln könnten. Im Jahr 2024 erfuhren wir von einem Team von Wissenschaftlern, die den Huntingtin-Proteinspiegel in Tränenflüssigkeit untersuchten. Obwohl dies ziemlich verrückt klingen mag, ist dieser Ansatz im Gegensatz zur Entnahme von Rückenmarksflüssigkeit oder Blutproben nicht-invasiv und könnte helfen, das Fortschreiten der Huntington-Krankheit zu verfolgen oder sogar, wie gut Huntingtin-senkende Medikamente wirken.

Weitere überraschende Wendungen für die Huntingtin-Senkung ergaben sich in einer Studie, die sich mit Spleißmodulatoren befasste, einer Klasse von Medikamenten, die die Art und Weise verändern, wie das Huntingtin-Botenmolekül (m-RNA) verarbeitet wird, und dazu führen, dass die Spiegel des Proteins sinken. Es stellt sich heraus, dass einige Spleißmodulatoren auch auf ein anderes Protein namens PMS1 abzielen, das an der somatischen Expansion beteiligt ist. Bei der Behandlung von Zellen in einer Schale scheinen einige Spleißmodulatoren die somatische Expansion **UND** das untere Huntingtin zu verändern. Dies könnte bedeuten, dass diese Medikamente eine Zwei-zu-Eins-Wirkung haben könnten!

Näher an den klinischen Einsatz gegen die Huntington-Krankheit rücken viele CRISPR-basierte Technologien. CRISPR ist ein cleveres Werkzeug, mit dem der DNA-Code präzise bearbeitet werden kann. Eine der größten Herausforderungen besteht derzeit darin, die CRISPR-Maschinerie in die richtigen Zellen zu bringen, um diese Veränderungen vorzunehmen. Im Jahr 2024 wurde eine CRISPR-Therapie für die Sichelzellerkrankung zugelassen. Hier umging man die Herausforderung der Verabreichung, indem man Zellen aus dem Knochenmark entfernte, sie in einer Schale in einem Labor bearbeitete und sie später wieder den Patienten injizierte. Viele Forscher versuchen, diese Technologie auf die Huntington-Krankheit anzuwenden, einschließlich eines Teams, das Werkzeuge entwickelt, um CAG-Abfolgen zu unterbrechen.

„Es war ein aufregendes Jahr, in dem neue Unternehmen im Bereich der Huntington-Medikamentenforschung mit klinischen Studien begonnen haben.“

Updates aus der Klinik

Stolpersteine

Obwohl wir immer darauf hoffen, dass klinische Studien uns die positiven Ergebnisse liefern, die wir uns wünschen, funktioniert es leider nicht immer so. Klinische Studien gehören zu den kompliziertesten, teuersten und riskantesten Experimenten, die Wissenschaftler durchführen können, und leider scheitern insgesamt 90%. Trotz dieser Enttäuschungen gibt es immer eine Menge, was die Gemeinschaft aus jeder Studie lernen kann, unabhängig vom Ergebnis, mit der großen Menge an gesammelten Daten und verschiedenen getesteten Hypothesen. Es bedeutet auch nicht unbedingt das Ende für die betreffenden Medikamente.

Pridopidin ist ein Medikament mit einer komplexen Geschichte im Bereich der Huntington-Krankheit. Heute im Besitz der Firma Prilenia, wurde es ursprünglich entwickelt, um die Bewegungssymptome der Huntington-Krankheit zu verbessern, und später wurde angenommen, dass es möglicherweise das Fortschreiten der Krankheit verlangsamen könnte. Trotz der negativen Ergebnisse der klinischen Phase-3-Studie PROOF-HD versucht Prilenia, die Zulassung des Medikaments in Europa zu erhalten. Wir sollten mehr über die Entscheidung der Regulierungsbehörde im Jahr 2025 wissen.

Eine weitere Enttäuschung für viele war der Stopp der Entwicklung von Dalzanemdor, früher SAGE-718 genannt, durch SAGE Therapeutics. Sage hatte gehofft, dass Dalzanemdor dazu beitragen würde, Denk- und Gedächtnisprobleme von Menschen mit der Huntington-Krankheit zu verbessern. Allerdings hatte das Medikament Rückschläge in klinischen Studien für andere neurologische Erkrankungen und zeigte leider keine kognitiven Verbesserungen in der DIMENSION-Studie, in der das Medikament an Menschen mit der Huntington-Krankheit getestet wurde.

In beiden Fällen wissen wir, dass viele Leute in der Huntington-Gemeinschaft, die an den Studien teilgenommen hatten, das Gefühl hatten, dass die Medikamente ihnen geholfen hätten, und diese Erfahrung ist völlig gültig. Es könnte durchaus sein, dass Menschen in einer bestimmten Altersgruppe, mit einer bestimmten CAG-Zahl oder in einem bestimmten Stadium der Huntington-Krankheit besser ansprechen. Die Gesamtdaten in beiden Fällen bewiesen jedoch nicht, dass sich der Nutzen der Einnahme eines der beiden Medikamente signifikant von einer Zuckerpille unterscheidet.



Manchmal, wenn es regnet, schüttet es! In diesem Jahr sind so viele aufregende Neuigkeiten von verschiedenen klinischen Studien zur Huntington-Krankheit auf uns eingepresselt!

Schritte in die richtige Richtung

Trotz dieser Rückschläge war das Jahr 2024 voller positiver und hoffnungsvoller Nachrichten von anderen Unternehmen, die klinische Studien im Gange haben. PTC Therapeutics, die PTC-518 entwickelt haben, eine Pille, die oral eingenommen werden kann, um den Spiegel des Huntingtin-Proteins zu senken, teilte ein Update mit Daten, die eine gute Sicherheit ihres Medikaments belegen, und sogar mit einigen Andeutungen, dass sich bestimmte klinische Ergebnisse zu verbessern scheinen.

Kurz darauf erhielten wir dann ein weiteres Update zu einer klinischen Studie zur Huntingtin-Senkung, diesmal von Wave Life Sciences, die WVE-003 entwickelt haben, das durch Lumbalpunktion verabreicht wird. In diesem Update erfuhren wir, dass ihr Medikament im Allgemeinen sicher zu sein schien, obwohl um ihre NfL-Daten zu Diskussionen führten. Wave berichtete auch, dass das Medikament - wie geplant - selektiv

nur auf die erweiterte schädliche Form von Huntingtin abzielen schien, nicht auf die gesunde Version. Darüber hinaus schienen sehr vorläufige Daten aus MRT-Gehirnscans darauf hinzudeuten, dass die Teilnehmer der Studie mit dem Medikament im Vergleich zu denen unter Placebo einen geringeren Verlust an Hirngewebe aufwiesen.

Ein weiteres Update kam nur ein paar Wochen später von uniQure über ihre Huntingtin-senkenden Studien, in denen ihre Gentherapie AMT-130 getestet wurde, die als Einzeldosis durch eine Gehirnoperation verabreicht wurde. Obwohl wir in diesem Update nichts über das Endziel erfahren haben (d.h. senkt das Medikament tatsächlich Huntingtin), erfuhren wir, dass das Medikament in ihrem aktualisierten Operationsprotokoll weitgehend sicher zu sein scheint und basierend auf einigen klinischen Metriken möglicherweise das Fortschreiten der Symptome verlangsamen könnte.

Obwohl wir in diesem Jahr kein Blockbuster-Update von der GENERATION-HD2-Studie erhielten, in der Tominersen getestet wurde, ein von Roche entwickeltes Huntingtin-senkendes Medikament, das durch Lumbalpunktion verabreicht wird, erfuhren wir kürzlich, dass die Studie nun die Rekrutierung abgeschlossen hat. Die Wissenschaftler von Roche brüten weiterhin über den Daten aus der vorherigen GENERATION-HD1-Studie und gewinnen Erkenntnisse darüber, was funktionieren könnte und was nicht, um Tominersen in dieser nächsten Phase seiner Entwicklung die beste Chance zu geben.

Alles in allem war das eine Fülle positiver Nachrichten! Ich will kein HDBuzz-Killer sein, aber es ist wichtig zu beachten, dass all diese Studienmeldungen vorläufig sind - nicht die endgültigen Daten, und die Daten stammen von relativ wenigen Menschen, so dass es noch ein weiter Weg ist, bis wir sehen, wie sich jedes Medikament bei einer größeren Anzahl von Menschen mit der Huntington-Krankheit auswirkt.

„Keiner der Fortschritte, die wir im letzten Jahr gemacht haben, wäre ohne Sie - die Huntington-Gemeinschaft- möglich gewesen.“

Neue Akteure in der Huntington-Forschung

Es war ein aufregendes Jahr, in dem neue Unternehmen im Bereich der Huntington-Wirkstoffforschung mit klinischen Studien begannen. Alnylam Pharmaceuticals startete ihre klinische Studie zur Untersuchung ihres Huntingtin-senkenden Medikaments ALN-HTT02, wobei der erste Teilnehmer das Medikament im Dezember dieses Jahres erhielt. Skyhawk Therapeutics begann Anfang des Jahres mit seiner Studie zur Senkung des Huntingtin-Effekts in Australien und hat bereits ein Update geteilt, das das vielversprechende Sicherheitsprofil und die Zielbindung ihres Medikaments SKY-0515 demonstriert.

Vico Therapeutics informierte die Community über ihr CAG-Repeat-Targeting-Medikament VO659, das Huntingtin senken kann. Da es auf CAGs abzielt, kann dieses Medikament Proteine senken, die an anderen CAG-Krankheiten, einschließlich spinocerebellärer Ataxien (SCA) 1 und 3, beteiligt sind. In ihrer Studie wird das Medikament an Menschen mit allen 3 Krankheiten getestet - SCA1, SCA3 und HD. Es gibt einige Bedenken hinsichtlich der

Sicherheit, die auf die hohe Dosierung zurückzuführen sind, die Vico in der nächsten Phase seiner klinischen Studien ändern will. Das Medikament senkt jedoch das Huntingtin und könnte sich als Weg für eine neue Therapie für mehrere seltene Krankheiten erweisen.

Eine Prixe Zulassung

2024 gab es auch eine neue Medikamentenzulassung für die Huntington-Gemeinschaft. Neurocrine Biosciences hat INGREZZA entwickelt, das zur Behandlung der Bewegungssymptome der Huntington-Krankheit eingesetzt wird. INGREZZA ist der Handelsname für Valbenazin, das zuvor für die Behandlung der Huntington-Krankheit zugelassen wurde. Einige Menschen mit der Huntington-Krankheit haben jedoch Schwierigkeiten, Tabletten zu schlucken, so dass Neurocrine das Medikament in einem Streuformat herstellte, das auf Lebensmittel geschüttelt werden konnte, was von der FDA zugelassen wurde.

Auf dem Weg zur Zulassung



Wir kommen dem Ziel immer näher, hoffentlich Medikamente zu haben, die die Huntington-Krankheit verlangsamen oder stoppen können. In der Zwischenzeit gibt es viele Maßnahmen, die wir ergreifen können, um uns um unsere Lieben und uns selbst zu kümmern und unser Gehirn so gesund wie möglich zu halten.

Während wir immer näher an mögliche Medikamente herankommen, die die Huntington-Krankheit verlangsamen oder stoppen könnten, denken Forscher mehr darüber nach, wie diese Medikamente eines Tages zugelassen und für die Huntington-Gemeinschaft breiter zugänglich gemacht werden könnten. Die verschiedenen Regulierungsbehörden, die diese Prozesse regeln, sind komplexe Organisationen, und ihre Rolle und ihre Verfahren für Arzneimittelzulassungen unterscheiden sich je nach geografischer Zuständigkeit.

Gegen Ende des Jahres 2024 trafen sich Huntington-Familien mit der FDA, um die Herausforderungen zu besprechen, vor denen sie stehen, und was sie von neuen Medikamenten erwarten. Vertreter der FDA hörten sich die gelebten Erfahrungen von Menschen mit der Huntington-Krankheit und Familienmitgliedern an, um die Dringlichkeit und die Bedürfnisse der Gemeinschaft besser zu verstehen.

Die Gespräche zwischen Unternehmen, die Medikamente für die Huntington-Krankheit entwickeln, und der FDA wurden im Jahr 2024 ebenfalls vorangetrieben. uniQure teilte mit,

dass sie nach Gesprächen mit der FDA auf die Schlüsselemente abgestimmt sind, die für die Zulassung eines Medikaments gegen die Huntington-Krankheit erforderlich sind. Dieses aufregende regulatorische Update ist über die klinischen Studien von uniQure hinaus von Bedeutung, da es einen Weg in die Zukunft für andere potenziell krankheitsmodifizierende Medikamente in der Klinik aufzeigt, die versuchen, die Symptome der Huntington-Krankheit zu verlangsamen oder zu stoppen.

Lernen aus Beobachtungsstudien

Zusätzlich zu den Studien, in denen verschiedene Medikamente oder Interventionen untersucht werden, gibt es viele verschiedene Beobachtungsstudien für die Huntington-Krankheit. Diese sammeln biografische Informationen, genetische Daten und überwachen das Fortschreiten der Krankheit im Laufe der Zeit mit verschiedenen klinischen Tests und Biomarker-Studien. Dies hilft dabei, einen reichhaltigen Datenteppich zu erstellen, damit wir verstehen können, wie sich die Huntington-Krankheit auf eine Vielzahl von Menschen im Laufe ihres Lebens auswirkt.

In diesem Jahr wurde eine sehr interessante Studie veröffentlicht, die auf einer Fülle von genetischen Daten basiert, die zeigten, dass wiederholte Expansionskrankheiten, eine Klasse von Krankheiten, die durch DNA-Expansionen verursacht werden und die Huntington-Krankheit einschließt, viel häufiger auftreten als bisher angenommen. Diese und andere Studien widerlegten das gängige Narrativ, dass die Huntington-Krankheit in erster Linie eine Krankheit ist, die häufiger bei Menschen weißer Abstammung auftritt. Tatsächlich wirkt sich die Huntington-Krankheit auf die Bevölkerung weltweit aus. Kritische Forschung in den USA untersucht die rassistische Ungleichheit beim Zugang zur Gesundheitsversorgung und zu Gesundheitsergebnissen für Schwarze und Latinx-Personen. Die Identifizierung dieser Lücken ist der erste entscheidende Schritt, um diese Probleme zu bekämpfen.

„2025 wird ein großes Jahr! Nicht nur für HDBuzz, sondern für die Huntington-Forschung insgesamt.“

In der Vergangenheit haben sich viele Beobachtungsstudien auf offensichtliche Symptome der Huntington-Krankheit konzentriert, wie unkontrollierbare Muskelbewegungen und Schwierigkeiten beim Schlucken. Wissenschaftler beginnen nun, weniger offensichtliche Auswirkungen der Huntington-Krankheit zu untersuchen, wie z.B. soziale Kämpfe. Es gibt ein zunehmendes Bewusstsein dafür, wie sehr diese weniger bekannten Anzeichen der Huntington-Krankheit eine Person und ihre Lebensqualität beeinträchtigen können.

Eine andere Studie untersuchte, welche Medikamente Menschen mit der Huntington-Krankheit bereits einnehmen und wie diese mit dem Fortschreiten der Krankheit übereinstimmen. Sie fanden heraus, dass die Einnahme der häufig verschriebenen Betablocker mit einem verzögerten Einsetzen und einem langsameren Fortschreiten der Huntington-Symptome verbunden war. Diese super coole Entdeckung wurde von all den

wunderbaren Leuten ermöglicht, die an Enroll-HD teilnehmen, ein Beweis für die Macht des riesigen Datensatzes, der von so vielen Huntington-Familienmitgliedern beigesteuert wurde und Wissenschaftlern hilft, diese coolen Erkenntnisse herauszuholen.

Jetzt handeln

Ende 2024 sind wir der Suche nach Medikamenten, die die Krankheitssymptome verlangsamen oder stoppen könnten, einen Schritt näher gekommen. Einige dieser Durchbrüche scheinen verlockend nah zu sein, aber während wir die Huntington-Wissenschaftler und Kliniker anfeuern, die diese Entwicklungen vorantreiben, gibt es viele Maßnahmen, die wir in der Zwischenzeit ergreifen können.

Viele Mitglieder der Huntington-Gemeinschaft helfen, diese Wissenschaft voranzutreiben, indem sie an klinischen Studien, Beobachtungsstudien und Umfragen teilnehmen. Keiner der Fortschritte, die wir im letzten Jahr gemacht haben, wäre ohne *euch* - die Huntington-Community - möglich gewesen. Es gibt auch praktische Schritte, die wir alle unternehmen können, um unser Gehirn so gesund wie möglich zu halten, unsere zukünftigen Gesundheitspläne und -bedürfnisse vorzubereiten und Entscheidungen über Familienplanung zu treffen.

Eine Sache, die in diesem Jahr sehr deutlich wurde, war die erstaunliche Beschleunigung der Huntington-Wissenschaft durch die selbstlose Spende, die die Leute gemacht haben, indem sie ihr Gehirn der Forschung zur Verfügung gestellt haben, nachdem sie gestorben sind. So viele der Geschichten, die wir in diesem Jahr vorgestellt haben, haben Durchbrüche gezeigt, die nur mit diesen wertvollen Proben erzielt werden können. Wenn wir mehr über die Auswirkungen der Huntington-Krankheit auf das menschliche Gehirn wissen wollen, damit wir die Behandlungen vorantreiben können, müssen wir das menschliche Gehirn untersuchen. Und dank großzügiger Spender haben wir jetzt mehr Studien als je zuvor, die solche Experimente durchführen.



HDBuzz hat in diesem Jahr mit einem neuen Redaktionsteam und einer neuen Finanzierungsstruktur viele Veränderungen durchgemacht, während wir über ein spektakuläres Jahr voller spannender Forschung berichten. Ohne Ihre Unterstützung hätten wir es nicht geschafft - danke!

HDBuzz unterstützen

Das Modell, das HDBuzz finanziert und unterstützt, hat sich im Jahr 2024 geändert. Zusätzlich zur Unterstützung durch verschiedene wunderbare Stiftungen haben wir begonnen, Spenden anzunehmen direkt von unseren Lesern, um die Nachhaltigkeit und das Wachstum von HDBuzz zu gewährleisten. Diese Entscheidung wurde mit großer Sorgfalt und Überlegung getroffen, um den Fortbestand von HDBuzz zu gewährleisten. Trotz dieser Änderungen hat HDBuzz nie Finanzmittel von Pharmaunternehmen angenommen, damit wir bei den Forschungsaktualisierungen und Neuigkeiten über klinische Studien, über die wir berichten, unparteiisch bleiben können.

Spenden unterstützen die Wartung und Aktualisierung der Website, die Übersetzung unserer Artikel in verschiedene Sprachen, Reisen zu Konferenzen, damit wir über die neuesten Forschungsergebnisse berichten können, Reisen zu Treffen, um zu präsentieren und direkt mit der Huntington-Gemeinschaft in Kontakt zu treten, und für die Zeit, die unsere Autoren und Redakteure mit Lesen, Schreiben, Entwickeln von Inhalten, Zusammenstellen von Präsentationen und Präsentationen für die Huntington-Gemeinschaft verbringen. Unsere Inhalte werden nie hinter einer Paywall stehen und immer für alle verfügbar sein, aber wenn Sie uns unterstützen möchten, sind wir für jeden Cent dankbar. Wir freuen uns darauf, alle Spenden sinnvoll einzusetzen und im Jahr 2025 Spannendes für unsere Leser auf Lager zu haben!

Vorschau auf 2025

2025 wird ein großes Jahr! Nicht nur für HDBuzz, sondern für die Huntington-Forschung insgesamt. Mehrere große klinische Studien gehen bald zu Ende, die schlüssige Daten liefern werden. In Kürze werden wir *definitive Antworten* über bestimmte Medikamente haben, die den Verlauf der Huntington-Krankheit verändern könnten! Setz also deinen Partyhut auf, wirf etwas Glitzer in die Luft und mach dich bereit, das Jahr 2025 mit HDBuzz an deiner Seite einzuläuten.

Die Autoren haben keinte Interessenskonflikte offenzulegen. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...

GLOSSAR

Blut-Hirn-Schranke Eine natürliche Barriere, gebildet durch die Verstärkung von Blutgefäßen, die den Eintritt vieler Stoffe aus dem Blut in das Gehirn verhindert.

CAG-Wiederholung Der Abschnitt der DNA am Anfang des Huntington-Gens, der die Sequenz CAG viele Male wiederholt enthält und ungewöhnlich lang ist bei den

Menschen, die die Huntington-Krankheit entwickeln

Klinische Studie Sehr sorgfältig geplante Experimente werden erstellt, um spezifische Fragen darüber zu beantworten, wie ein Medikament sich auf den Menschen auswirkt.

Stammzellen Zellen, die sich in verschiedene Zelltypen teilen können

Knochenmark Das weiche Zeug im Innern der Knochen, das Blutzellen erzeugt. Bei Verzehr gibt es Hunden ein glänzendes Fell und Vitalität.

Biomarker Irgendeine Art von Test - inklusive Bluttest, Gedächtnistest und Gehirnsan - 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

Spleißen das Zerschneiden von RNA Nachrichten, um nicht kodierende Regionen zu entfernen und kodierende Regionen zu verknüpfen.

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.

CRISPR Ein System zur DNA-Bearbeitung auf präzise Weise

RNA Die Chemikalie ähnlich der DNA, die die "Nachrichten"-Moleküle herstellt, die die Zellen als Arbeitskopien von Genen bei der Herstellung von Proteinen nutzen.

SCA Spinozerebelläre Ataxie, eine weitere neurodegenerative Krankheit, die durch zu viele CAG verursacht wird

ALS Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

NfL Biomarker für die Gesundheit des Gehirns

© HDBuzz 2011-2025. 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 4. April 2025 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/402>