

# März 2025: Dieser Monat in der Huntington-Forschung

Da im Bereich der Huntington-Krankheit so viel wissenschaftliche Arbeit geleistet wird, bringen wir Ihnen ab März 2025 eine monatliche Zusammenfassung, in der wir über die wichtigsten wissenschaftlichen und Forschungsnachrichten zur Huntington-Krankh



Von Dr Sarah Hernandez

31. März 2025

Bearbeitet von Dr Rachel Harding

Übersetzt von Rebecca

---

**D**er März 2025 war vollgepackt mit bahnbrechenden Entdeckungen in der Huntington-Forschung, und wir sind hier, um Ihnen die größten Highlights zu präsentieren! Von dem innovativen CRISPR-Verabreichungssystem RIDE, das die Spielregeln der Genom-Editierung neu schreiben könnte, bis hin zu bedeutenden Fortschritten in der Arzneimittelentwicklung, bahnbrechenden Erkenntnissen über Biomarker und neuen Einblicken in die Biologie der Huntington-Krankheit war dieser Monat ein Wirbelsturm des Fortschritts. Wissenschaftler erweitern die Grenzen des Möglichen und kommen echten Lösungen für Huntington-Familien immer näher. Der März brachte uns nicht nur wissenschaftlichen Fortschritt, sondern auch Gemeinschaftsveranstaltungen wie den International Young Adult Congress von HDYO und den Gratitude Day von Factor-H, die das Bewusstsein für die Huntington-Krankheit schärfen, eine Plattform für Unterstützung bieten und die Gemeinschaft zusammenbringen. Wenn Sie eines der spannenden Updates verpasst haben, machen Sie sich keine Sorgen – wir haben alles für Sie. Tauchen Sie in unseren März-Rückblick ein und informieren Sie sich über alle Neuigkeiten zur Huntington-Krankheit, die Sie wissen müssen!

## CHDI Konferenz

Jedes Jahr veranstaltet CHDI eine der größten Konferenzen zur Erforschung der Huntington-Krankheit. Die 2025 HD Therapeutics Conference präsentierte bedeutende Fortschritte in der Forschung und potenzielle Therapien für die Huntington-Krankheit. An drei Tagen kamen mehr als 400 wissenschaftliche Experten aus der ganzen Welt zusammen, um über aktuelle Entwicklungen bei klinischen Studien, genetische Modifikatoren und innovative Technologien zu diskutieren.



*Wissenschaftler, Fürsprecher und Familien kommen zusammen, um die Huntington-Forschung voranzutreiben. Lesen Sie unseren März-Rückblick, um zu erfahren, wie Zusammenarbeit die Zukunft gestaltet!*

*Quelle: Jerry Turner, CHDI*

### Tag 1: Fortschritte bei klinischen Studien

Die Konferenz begann mit aktuellen Informationen zu therapeutischen Studien, die auf Huntingtin (HTT) abzielen, das Protein, das für die Huntington-Krankheit verantwortlich ist. Forscher tauschten Daten über laufende Bemühungen zur sicheren Senkung der HTT-Werte aus, darunter kleinmolekulare Medikamente und Gentherapien. Die Diskussionen konzentrierten sich auch auf die Verfeinerung des Designs klinischer Studien, die Auswahl aussagekräftiger Biomarker und die Sicherstellung, dass zukünftige Studien besser darauf vorbereitet sind, therapeutische Vorteile zu erkennen.

### Tag 2: Genetische Modifikatoren und Krankheitsverlauf

Am zweiten Tag wurden genetische Faktoren untersucht, die den Zeitpunkt des Auftretens von Huntington-Symptomen und den Krankheitsverlauf beeinflussen. Wissenschaftler stellten Ergebnisse aus groß angelegten genetischen Studien vor, in denen wichtige Modifikatoren identifiziert wurden, die den Ausbruch der Krankheit verzögern können und vielversprechende neue therapeutische Ansatzpunkte bieten. Es wurden auch Fortschritte beim Verständnis der DNA-Reparaturwege und ihrer Rolle beim Fortschreiten der Huntington-Krankheit hervorgehoben, die neue Richtungen für potenzielle Behandlungen aufzeigen.

### Tag 3: Neue Technologien und zukünftige Richtungen

**„Der März war ein aufregender Monat für die Huntington-Forschung, voller bahnbrechender Entdeckungen, inspirierender Veranstaltungen in den Gemeinden und vielversprechender Fortschritte auf dem Weg zu besseren Behandlungsmöglichkeiten.“**

Der letzte Tag beleuchtete innovative Technologien, die die Huntington-Forschung und -Behandlung revolutionieren könnten. Die Vorträge behandelten Fortschritte in der Genom-Editierung, innovative Methoden zur Arzneimittelverabreichung und KI-gesteuerte Ansätze zur Analyse des Fortschreitens der Huntington-Krankheit. Die Forscher betonten die Bedeutung von Zusammenarbeit und kontinuierlicher Innovation, um diese Entdeckungen in reale Therapien umzusetzen.

Die Konferenz unterstrich die wachsende Dynamik in der Huntington-Forschung, bei der Wissenschaftler und Industriepartner zusammenarbeiten, um Durchbrüche in sinnvolle Behandlungen für von der Huntington-Krankheit betroffene Familien umzusetzen.

## **Weckruf: Schlaf wird beeinträchtigt, bevor Symptome der Huntington-Krankheit auftreten**

Eine aktuelle Studie, die während der Woche des Bewusstseins für Schlaf vorgestellt wurde, zeigt, dass Schlafstörungen bei Personen, die das Huntington-Gen tragen, auftreten können und zwar bis zu 15 Jahre vor dem Auftreten anderer Symptome. Die Forscher beobachteten, dass diejenigen, die weniger als 15 Jahre vom vorhergesagten Auftreten der Symptome entfernt waren, unter fragmentiertem Schlaf und vermehrtem nächtlichen Aufwachen litten, während diejenigen, die mehr als 15 Jahre davon entfernt waren, möglicherweise keine signifikanten Schlafprobleme zeigten. Diese Ergebnisse deuten darauf hin, dass frühe Schlafstörungen zu Denk- und Stimmungsstörungen im Zusammenhang mit der Huntington-Krankheit beitragen können, was das Potenzial schlafbezogener Interventionen zur Verbesserung der Lebensqualität und möglicherweise zur Verlangsamung des Krankheitsverlaufs unterstreicht.

## **Auf leise Töne lauschen: Wie ein winziges Protein die Huntington-Forschung verändern könnte**



*Von CRISPR-Durchbrüchen bis hin zu Entdeckungen von Biomarkern – die Huntington-Forschung schreitet schneller voran als je zuvor. Informieren Sie sich über die wichtigsten wissenschaftlichen Neuigkeiten vom März!*

*Quelle: Polina Tankilevitch*

Eine kürzlich durchgeführte 14-jährige Längsschnittstudie hat gezeigt, dass Neurofilament Light (NfL), ein Protein, das von geschädigten Gehirnzellen freigesetzt wird, als Frühindikator für das Fortschreiten der Huntington-Krankheit dienen kann. Erhöhte NfL-Werte wurden bei Personen, die das Huntington-Gen tragen, viele Jahre vor dem Auftreten von Symptomen festgestellt, was mit dem Fortschreiten der Krankheit korreliert. Diese Erkenntnis deutet darauf hin, dass die Überwachung von NfL durch einfache Blutuntersuchungen die Huntington-Forschung revolutionieren könnte, indem sie den Beginn von Symptomen vorhersagt, die Gestaltung klinischer Studien verbessert und frühere therapeutische Interventionen ermöglicht, um das Fortschreiten der Krankheit möglicherweise zu verlangsamen oder zu stoppen.

## **Weltkongress der Huntington-Jugendorganisation: Unterstützung für junge Menschen, die von der Huntington-Krankheit betroffen sind**

Die Huntington's Disease Youth Organization (HDYO) unterstützt, bildet aus und stärkt junge Menschen, die von der Huntington-Krankheit betroffen sind. Der jüngste zweijährliche Internationale Kongress für junge Erwachsene der HDYO bot einen einzigartigen Raum für Kontakte und Lernen. Auf dem Kongress 2025 in Prag nahmen die Teilnehmer an Workshops teil, hörten Vorträge führender Forscher und tauschten persönliche Erfahrungen aus, wodurch ein starkes Gemeinschaftsgefühl gefördert wurde.

HDBuzz hielt zwei Vorträge, in denen zunächst die Grundlagen der Huntington-Forschung erläutert wurden und anschließend ein Überblick über wichtige Forschungsarbeiten am Labortisch und in der Klinik gegeben wurde. Zu den Hauptthemen in anderen Vorträgen gehörten psychische Gesundheit, Entscheidungen über Gentests und der Umgang mit Familiendynamiken, wobei Experten Ratschläge gaben, die auf junge Menschen mit der Huntington-Krankheit zugeschnitten sind. Die Veranstaltung unterstrich die Bedeutung der Beteiligung von Jugendlichen an Forschung, Interessenvertretung und gegenseitiger Unterstützung und bekräftigte die Mission von HDYO, die nächste Generation von Huntington-Familien zu stärken.

## **Tag der Dankbarkeit**

**„Die Wissenschaft schreitet schnell voran und jeder Schritt nach vorne bringt uns echten Behandlungsmöglichkeiten für Huntington-Familien näher.“**

Factor-H ist eine gemeinnützige Organisation, die sich der Unterstützung von Huntington-Familien in Lateinamerika widmet, wo extreme Armut und Ressourcenmangel die Krankheit noch verheerender machen. Diesen Monat hat HDBuzz den Gründer von Factor-H, Dr. Ignacio Muñoz-Sanjuán, in einem Interview getroffen, in dem er die einzigartigen Probleme, mit denen Menschen mit der Huntington-Krankheit dort konfrontiert sind, und wie sie diesen gefährdeten Familien helfen und sie unterstützen, ausführlich beschreibt.

Die Organisation bietet humanitäre Hilfe, medizinische Versorgung, Wohnraumerneuerung, Bildung, Schulungen für Pflegekräfte und Rechtsbeistand für einige der am stärksten gefährdeten Huntington-Gemeinschaften in Venezuela, Peru und Kolumbien. Dieselben Gemeinschaften spielten eine entscheidende Rolle bei der Entdeckung des Huntington-Gens im Jahr 1993, doch vielen fehlt es immer noch am Nötigsten. Factor-H setzt sich auch für die Bekämpfung von Stigmatisierung, die Aufklärung der Öffentlichkeit und die Förderung nachhaltiger, langfristiger Unterstützung ein.

Eine wichtige Initiative ist der Tag der Dankbarkeit, der dieses Jahr am 23. März stattfand, an dem die Beiträge von Huntington-Familien zur Forschung gewürdigt werden und gleichzeitig auf ihre anhaltenden Probleme aufmerksam gemacht wird. Die Veranstaltung im Jahr 2025 umfasste einen Live-Stream aus Venezuela, Mahnwachen bei Kerzenlicht und medizinische Einsätze, die die Bedeutung globaler Solidarität unterstreichen. Die Mission von Factor-H unterstreicht die Notwendigkeit sowohl sofortiger Hilfe als auch systemischer Veränderungen, um sicherzustellen, dass Hoffnung und Menschlichkeit – und nicht nur Not – die Zukunft für Huntington-Familien bestimmen.

## **Molekularchirurgen für die Huntington-Krankheit nutzen CRISPR-Fortschritte**

Eine bahnbrechende Gen-Editing-Technologie namens RIDE (Ribonucleoprotein Delivery) ist vielversprechend für die Behandlung von Huntington. RIDE verwendet CRISPR, ein leistungsstarkes Tool zur Bearbeitung von DNA, und liefert es präzise an die Zielzellen im Gehirn, wodurch wichtige Herausforderungen wie Off-Target-Effekte und Immunreaktionen überwunden werden. Erste Tests an Mäusen und Affen haben gezeigt, dass RIDE die schädlichen HTT-Proteinspiegel im Gehirn effektiv reduzieren kann, was zu einer Verbesserung des Verhaltens und der motorischen Funktion führt. Dieses System bietet eine anhaltende Wirkung nach einer einzigen Injektion und ist so konzipiert, dass es das Risiko unbeabsichtigter genetischer Veränderungen minimiert. Obwohl sich RIDE noch in einem frühen Stadium befindet, bringt der gezielte Ansatz von RIDE neue Hoffnung für die Behandlung der Huntington-Krankheit und das Potenzial für breitere Anwendungen bei genetischen Krankheiten.

Der März war ein aufregender Monat für die Huntington-Forschung, voller bahnbrechender Entdeckungen, inspirierender Gemeinschaftsveranstaltungen und vielversprechender Fortschritte auf dem Weg zu besseren Behandlungsmöglichkeiten. Wir hoffen, dass Ihnen diese Zusammenfassung gefallen hat und dass Sie sich genauso motiviert fühlen wie wir angesichts des zunehmenden Tempos der erzielten Fortschritte. Die Wissenschaft schreitet schnell voran, und jeder Schritt nach vorne bringt uns echten Behandlungsmöglichkeiten für Huntington-Familien näher. Bleiben Sie HDBuzz treu, um die neuesten Updates zur Huntington-Forschung zu erhalten, und wie immer vielen Dank, dass Sie uns auf dieser Reise begleiten!

---

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

---

## GLOSSAR

**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.

**CRISPR** Ein System zur DNA-Bearbeitung auf präzise Weise

**Genom** Der Name, der für alle Gene vergeben wurde, die die kompletten "Bauanleitungen" einer Person oder eines Organismus enthalten

**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](https://de.hdbuzz.net)

Erstellt am 3. April 2025 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/421>