

Wetenschappelijk nieuws over de Ziekte van Huntington. In eenvoudige taal. Geschreven door wetenschappers. Voor de hele ZvH gemeenschap.

## **Twee grote observationele studies - COHORT en REGISTRY - fuseren en vormen samen ENROLL-HD**



Fusie van twee belangrijke observationele onderzoeken naar de Ziekte van Huntington tot ENROLL-HD

Geschreven door Dr Jeff Carroll op 11 oktober 2011

Bewerkt door Dr Ed Wild; Vertaald door Lucre Nauta-Jansen

Origineel gepubliceerd op 24 november 2010

*Bij onderzoek naar een ziekte die traag verloopt, zoals de Ziekte van Huntington (ZvH), heb je grote aantallen nodig. Het bestuderen van veel patiënten over meerdere jaren kan ons belangrijke inzichten geven die we niet zouden kunnen krijgen met andere onderzoeksmethoden. Dat is waarom twee van de grootste observationele studies, COHORT en REGISTRY, hun krachten hebben gebundeld om ENROLL-HD te vormen; de grootste studie ooit ter wereld bij patiënten met de ZvH.*

### **Observationele studies**

De ZvH is een ingewikkelde ziekte. Wetenschappers kunnen aspecten van de ziekte bestuderen in cellen, vliegen, wormen en muizen, maar uiteindelijk is het enige dat er toe doet wat er mis gaat bij mensen. Mensen met de ZvH, en diegenen met de ZvH mutatie, zijn onze beste bron van informatie over wat er mis gaat bij de ZvH.

Wanneer artsen patiënten met de ZvH onderzoeken, is het moeilijk van tevoren te weten wat voor informatie voor wetenschappers informatief is, dus is de beste strategie vaak om zoveel mogelijk informatie te verzamelen en deze informatie toegankelijk te maken voor zoveel mogelijk verschillende ZvH wetenschappers.

'Observationeel' onderzoek is onderzoek waarbij mensen met de ZvH hun informatie of biologisch materiaal vrijwillig beschikbaar stellen voor onderzoek. Er worden geen medicijnen of therapieën getest en het enige doel is zoveel mogelijk te weten te komen over de ZvH.



COHORT en REGISTRY omvatten al duizenden deelnemers - en ENROLL-HD zal nog groter zijn

Een aantal van deze observationele studies onderzoeken mensen met de ZvH. Sommige studies betreffen diepgravende onderzoeken, zoals beeldvormend hersenonderzoek, biologisch materiaal, gedetailleerde vragenlijsten en andere tests. PREDICT-HD en TRACK-HD zijn voorbeelden van dergelijke studies.

Maar dagenlange onderzoeken en gedetailleerde tests ondergaan, is niet iets waar iedereen aan mee wil doen en studies zoals PREDICT-HD en TRACK-HD kunnen niet meer dan een paar honderd vrijwilligers krijgen.

## COHORT en REGISTRY

Er zijn twee langdurige studies die als doel hebben zo veel mogelijk informatie van zo veel mogelijk ZvH families te verzamelen, of ze nu genetisch getest zijn of niet. COHORT is een observationele studie naar de ZvH die uitgevoerd wordt op 42 locaties in de VS, Canada en Australië, en wordt uitgevoerd door de Huntington Study Group. Aan COHORT doen meer dan 1500 mensen met de ZvH en hun naaste familieleden mee. Deze deelnemers bezoeken een keer per jaar een onderzoekslocatie, geven bloed, ondergaan een eenvoudig neurologisch en medisch onderzoek en hebben de mogelijkheid ook andere informatie te geven.

Een gelijkwaardige studie, voornamelijk uitgevoerd in Europa, is bekend onder de naam REGISTRY en wordt uitgevoerd door het European Huntington Disease Network (EHDN). REGISTRY verzamelt, net als COHORT, zoveel mogelijk data van ZvH families. Meer dan 7000 vrijwilligers doen tot nog toe mee aan REGISTRY. REGISTRY omvat eenvoudige vragenlijsten, een neurologisch onderzoek en de mogelijkheid biologisch materiaal (bloed en urine) af te staan, dat vervolgens met verschillende technieken kan worden onderzocht op veranderingen die samenhangen met de ZvH. Het doel van REGISTRY is al deze data van een groot deel van de Europese ZvH gemeenschap te verzamelen en samen te voegen.

## ENROLL-HD

Het is duidelijk dat COHORT en REGISTRY dezelfde doelen nastreven, maar vanuit een ander geografisch gebied. Maar de ZvH is hetzelfde in Pittsburgh, Praag en Perth, dus het samenvoegen van deze studies is logisch. En dat is precies wat deze onderzoekers hebben afgesproken te doen. De nieuwe studie, **ENROLL-HD**, is een fusie van COHORT en REGISTRY en zal resulteren in een nog grotere database met informatie voor wetenschappers om te onderzoeken. Deelnemers zullen merken dat de studie erg zal lijken op de COHORT en REGISTRY onderzoeken, maar achter de schermen zal de database met patiënteninformatie veel groter worden.



Door de krachten van COHORT en REGISTRY te bundelen, zal ENROLL-HD wetenschappelijke ontdekkingen over de ZvH mogelijk maken

Om een voorbeeld te geven van waarom grote aantallen essentieel zijn in dit soort studies, kunnen we denken aan aspirine. Onderzoek heeft aangetoond dat het immuunsysteem van patiënten met de ZvH alerter is dan bij mensen zonder de ZvH. Is dat goed of slecht? Een manier om daar achter te komen is om naar mensen met de ZvH mutatie te kijken die dagelijks medicijnen slikken die het immuunsysteem dempen, zoals aspirine, en hun ZvH symptomen te vergelijken met diegenen die dat niet doen. Als de mensen die aspirine slikken later ZvH symptomen ontwikkelen, of als de ziekte bij hen langzamer verloopt, zouden we kunnen zeggen dat de immunreactie die we zien in ZvH patiënten slecht is. Maar om deze vraag te

beantwoorden zouden we een **enorm** aantal mensen die aspirine slikken nodig hebben, en een andere enorme groep mensen die in alles vergelijkbaar is, behalve dat ze geen aspirine slikken - dat zijn de “controles”. Met ENROLL-HD is het makkelijker om mensen te vinden die vergelijkbaar zijn op deze criteria, omdat we meer mensen hebben om uit te kiezen. Dit zijn precies het soort vragen dat ZvH wetenschappers graag zouden willen kunnen stellen.

## Toegang tot data

Een vraag voor de ZvH gemeenschap is hoe wordt omgegaan met de persoonlijke informatie die zij hebben gegeven. Ten eerste zijn er zorgen over de privacy - mensen geven heel gevoelige informatie en dat moet beschermd worden. Alle studies geven aan dat ze zorgvuldige procedures hebben om de gegevens van deelnemers te beschermen en anoniem te maken. Ten tweede zijn er zorgen over hoe we kunnen garanderen dat de informatie zo bruikbaar mogelijk is. De databases van zowel REGISTRY als COHORT zijn vrij beschikbaar voor aanvragen van onderzoekers die wetenschappelijke vragen willen beantwoorden. In de praktijk is het zo dat beide projecten eisen dat gekwalificeerde wetenschappers eerst een aanvraag indienen bij een beoordelingscommissie voor ze bij de informatie mogen. Nu de regels voor ENROLL-HD duidelijker worden, hopen we dat zorgvuldig geanonimiseerde informatie breed beschikbaar komt, in de hoop onderzoekers de mogelijkheid te bieden nieuwe ontdekkingen te doen.

---

*De auteurs hebben geen belangenconflicten te verklaren. Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangenconflicten, zie FAQ...*

---

## Verklarende woordenlijst

**observationeel** Een studie waarin metingen worden verricht bij menselijke vrijwilligers, maar geen experimentele medicijnen of behandelingen worden toegepast.

---

© HDBuzz 2011-2017. De inhoud van HDBuzz mag vrij gedeeld worden met anderen, onder de Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz is geen bron van medisch advies. Voor meer informatie ga naar [hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

Gegenereerd op 6 juli 2017 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/005>