

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

## HDBuzz neemt uw vragen mee naar de jaarlijkse therapeutische bijeenkomst van CHDI



HDBuzz bezoekt Palm Springs om met CHDI te praten over de meest recente ZvH-onderzoeken. Stuur ons je vragen!

Geschreven door Dr Ed Wild op 23 oktober 2012

Bewerkt door Dr Jeff Carroll; Vertaald door Hans van der Leer

Origineel gepubliceerd op 28 januari 2011

---

*In de afgelopen jaren is CHDI Inc. uitgegroeid tot de grootste drijvende kracht achter de ontwikkeling van ZvH-behandelingen. CHDI's jaarlijkse therapeutische conferentie in Palm Springs (Californië) brengt farmaceutische bedrijven, biotechnologie-bedrijven en onderzoekers samen om hun nieuwste, meest populaire bevindingen te delen en om over het pad naar genezing te praten. HDBuzz zal verslag uitbrengen van de conferentie - en wij willen je vragen horen!*

### CHDI

Veel mensen met de ziekte van Huntington (ZvH) hebben waarschijnlijk nog nooit van CHDI Inc. gehoord. Dat zou moeten veranderen, aangezien CHDI en ZvH-families hetzelfde doel nastreven. De website van CHDI legt uit dat het bedrijf zich richt op "het snel ontdekken en ontwikkelen van medicijnen die de ziekte van Huntington kunnen vertragen of stoppen". Dat is een doel waar we allemaal achter staan. Dus wat is CHDI, en hoe past het in het ZvH-onderzoeksbeeld?

CHDI is een 'virtueel biotechnologie- bedrijf' zonder winsttoegmerk. Dat betekent dat ze een aantal wetenschappers hebben die voltijd aan de ZvH werken. Maar in plaats van dat ze zelf aan één project tegelijk werken, beheert elke wetenschapper bij CHDI een aantal externe projecten. Ze werken met academische laboratoria, alsmede met commerciële organisaties die onderzoek doen op contractuele basis. Op deze manier is CHDI - als relatief kleine organisatie - in staat om een enorme hoeveelheid fundamenteel onderzoek te doen.



CHDI is een virtueel biotechnologie bedrijf zonder winsttoegmerk

### Jaarlijkse therapeutische bijeenkomst

De afgelopen zes jaar heeft CHDI een jaarlijkse conferentie gehouden, waarbij grote namen binnen de ZvH vier dagen lang van ideeën wisselden en discussieerden over hoe behandelingen werkelijkheid zouden kunnen worden.

Er zijn tal van academische conferenties, maar de CHDI bijeenkomst is een unieke ervaring. Het netwerk dat CHDI heeft opgebouwd vormt een brug tussen de werelden van academisch- en klinisch onderzoek, maar ook met de commerciële fabrikanten ter productie van medicijnen.

Het is vrij zeldzaam om zo een breed spectrum van kennis bijeen te krijgen op één enkele wetenschappelijke bijeenkomst, en het bevordert een unieke samenwerking tussen academische onderzoekers en commerciële organisaties. Mede doordat CHDI's missie zo helder is, is er elk jaar een intense focus op patiënten, en op hoe ideeën omgezet kunnen worden in behandelingen.

Dit jaar belooft belangrijke updates van vele wetenschappers. Een hele ochtend is gevuld met presentaties gericht op strategieën om de niveaus van het huntingtine eiwit te verminderen. Zo een strategie is gen-uitschakeling met siRNA, een methode waar velen in de gemeenschap opgewonden over zijn. De overige sessies omvatten pogingen om de energie-problemen bij de ZvH beter te begrijpen, het gebruik van **groeifactoren** bij behandelingen, evenals andere interessante gebieden van onderzoek.

## De onderzoekspijlijn

Het ontwikkelen van een medicijn is een lang proces. Het begint als een wetenschapper iets waarneemt dat helpt te verklaren hoe een ziekte zich manifesteert. Het vertalen van die kennis naar een medicijn vereist een ingewikkelde reeks stappen.

Allereerst moeten moleculen worden ontdekt die het proces kunnen veranderen. Deze worden doorgaans ontwikkeld in geïsoleerde cellen. Vervolgens moet het medicijn worden getest in diermodellen van de ziekte; eerst in eenvoudige **fruitvliegjes**, en uiteindelijk in de meer complexe dieren zoals **muizen**.

Indien de medicijnen blijven werken, moeten ze worden getest op toxiciteit, om er zeker van te zijn dat ze geen vreselijke bijwerkingen hebben. Als ze tenslotte veilig en effectief blijken in dieren, moeten ze worden getest bij mensen.

Organisaties die geneesmiddelen ontwikkelen, werken meestal aan verschillende medicijnen tegelijkertijd. Ze spreken van een **pijlijn** van medicijnen - een aantal zeer vroeg in de ontwikkeling, en sommige al meer geavanceerd. CHDI heeft zijn eigen pijlijn van medicijnen in ontwikkeling, en dit jaar omvat de bijeenkomst een spannend klinkende presentatie genaamd: 'Internal Late CHDI's Stage Programs'. (CHDI's medicijnen in de laatste fase van het onderzoek-programma)

“

Als je de kans had om te spreken met mensen die leiding geven aan een groot deel van het ZvH-onderzoek, wat zou je dan willen weten?

”

**Vragen voor CHDI? Stuur ze naar ons!**

HDBuzz heeft toestemming gekregen voor een exclusief interview met het senior management van CHDI tijdens de bijeenkomst van dit jaar. We zullen praten met **Robert Pacifici**, Chief Scientific Officer van CHDI, evenals met de vicevoorzitters van Biologie **Ignacio Muñoz-Sanjuan** en Chemie **Celia Dominguez**. We hopen dat dit een unieke kans biedt voor ZvH-patiënten en -families om te horen over CHDI en hun werk op het gebied van medicijnontwikkeling.

We willen graag van je horen. Als je de kans had om te spreken met de mensen die leiding geven aan een groot deel van het ZvH-onderzoek, wat zou je dan willen weten? Heb je vragen over waar men met bepaalde takken van onderzoek staat?

Stuur je vragen naar ons op [CHDI2011@HDBuzz.net](mailto:CHDI2011@HDBuzz.net), en wij zullen ze voorleggen aan het CHDI management. Dit is uw kans om directe vragen te stellen over de huidige toestand en de toekomst van ZvH-onderzoek aan mensen die hier leiding aan geven. Laat je stem horen!

## HDBuzz, live vanuit Palm Springs

Elke avond van de conferentie, zullen HDBuzz redacteuren en schrijvers een dagelijkse update plaatsen op [HDBuzz.net](http://HDBuzz.net). Hierin leggen zij de meest actuele onderzoeken vast in duidelijke taal.

Uiteindelijk zullen we tegen het einde van de conferentie een ander artikel publiceren over het interview met het CHDI management. Stuur uw vragen in naar [CHDI2011@HDBuzz.net](mailto:CHDI2011@HDBuzz.net)!

---

*Dr Carroll en Dr Wild hebben eerder wetenschappelijk ZvH-onderzoek gesponsord door CHDI uitgevoerd, maar hebben geen honorarium ontvangen buiten die wetenschappelijke financiering. Hun aanwezigheid op de CHDI conferentie wordt ondersteund door het Europese ZvH Netwerk (EHDN), een onafhankelijk netwerk van ZvH-professionals, uit middelen geheel onafhankelijk van CHDI. Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangenconflicten, zie [FAQ...](#)*

---

### Geschiedenis van het artikel

23 oktober 2012

Eerst gepubliceerd

🕒 23 oktober 2012

Kleine veranderingen

---

### Verklarende woordenlijst

**klinisch onderzoek** zeer zorgvuldig geplande experimenten, ontworpen om specifieke vragen te beantwoorden omtrent het effect van een medicijn op mensen

**gen-uitschakeling** benadering om de ZvH te behandelen door gebruik te maken van specifieke moleculen die de cellen bevelen om het schadelijke huntingtine-eiwit niet te produceren.

**siRNA** Een manier om genen uit te schakelen met behulp van speciaal ontworpen RNA

moleculen – lijkt op DNA, maar met slechts een enkele streng - die zich richten op de boodschappermoleculen in de cellen en hen opdragen een bepaald eiwit niet te maken

---

© 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 21 juli 2017 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/015>