

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

Ziekte van Huntington Wereldcongres 2011: Een terugblik



HDBuzz blikt terug op de hoogtepunten van het Wereldcongres over de ziekte van Huntington, Melbourne 2011

Geschreven door Dr Jeff Carroll op 26 november 2011

Bewerkt door Dr Ed Wild; Vertaald door Vik Hendrickx

Origineel gepubliceerd op 24 oktober 2011

Twee opvallende vaststellingen op het recente Wereldcongres over de ZvH in Melbourne: een groeiende en wereldwijd vertakte ZvH gemeenschap en een gevoel dat we aan het begin staan van een nieuw tijdperk voor klinische studies. Nu het stof is gaan liggen blikt HDBuzz terug naar de belangrijkste thema's van het congres.

Barrières doorbreken

HDBuzz heeft tijdens het congres dagelijks - heet van de naald - verslag voor u uitgebracht. Nu is het tijd om terug te blikken en een balans op te maken van de meest opvallende thema's en aankondigingen.

Het Wereldcongres werd gehouden in Melbourne, Australië van 11 tot 14 september. Het was de grootste samenkomst ooit van wetenschappers, gezondheidswerkers, familieleden, vrienden en mantelzorgers die betrokken zijn bij de ZvH.

Het congres doorbrak grenzen. Het vond voor het eerst in twintig jaar plaats buiten Europa of Amerika. Delegaties waren afkomstig uit meer landen dan ooit voorheen. En het was het meest open congres ooit, waarbij debatten en kennis via Twitter Feeds en on-line video wereldwijd door HDBuzz werden beschikbaar gesteld.



Een authentiek Melbourne's welkom voor de afgevaardigden

Klinische proeven, begin er aan

Accurate methoden die de voortgang van een ziekte meten en die biomarkers worden genoemd zijn cruciaal voor het testen van nieuwe behandelingen. Er heerste een nieuw optimisme in de biomarker discussiegroepen. Meerdere topwetenschappers meldden dat globale studies aantonen dat we nu de middelen hebben om klinische proeven uit te voeren in een vroeg stadium van de ziekte.

De conferentie begon met een overzicht van zes behandelingen waarvan de klinische studie waarschijnlijk de komende twee jaar een aanvang zullen nemen, en van meerdere andere potentiële behandelingen waaraan momenteel in het lab gewerkt wordt. **Sarah Tabrizi** kondigde de “TRACK HD Battery” aan, een selectie metingen voor proeven tijdens de vroege fase van de ziekte, en van “TrackOn-HD”, een nieuwe studie over veranderingen in de hersenen voordat symptomen zich manifesteren. Tabrizi’s boodschap - “yes, we can” - was gedurende het ganse congres te horen. **Elizabeth Aylward** en **Rachael Scahill** hebben succesvolle ontwikkelingen gemeld i.v.m. metingen op MRI hersenscans die de evolutie van symptomen kunnen voorspellen en bijhouden, en dit dankzij de TRACK-HD en PREDICT-HD studies.

De volgende stap is het testen van nieuwe behandelingen op personen met de mutatie maar nog zonder symptomen. **Joachim Ferreira** van het EHDN benadrukte de nog komende uitdagingen maar is optimistisch dat deze worden opgelost tegen de tijd dat de geneesmiddelen testklaar zullen zijn. Hierop inspelend meldde **Nellie Georgiou-Karistianus** dat functionele MRI scanning in staat is om over een tijdsperiode verandering in hersenactiviteit te meten, wat wellicht gevoeliger is dan wachten op hersenverschrompeling.

En wat geneesmiddelen betreft?

Robert Pacifici van het CHDI, de grootste fondsverstrekker en motor achter het ZvH onderzoek, sprak van “een nieuw tijdperk van klinische proeven met een indrukwekkend aantal ideeën die specifiek bedacht zijn met het oog op klinische toepassingen voor de ZvH”. Later, in antwoord op vragen van de ZvH gemeenschap omschreef Pacifici het ontwikkelingswerk dat in de pijpleiding van het geneesmiddelenonderzoek zit als “met toekomstperspectief ” of “leidende tot patiëntgebonden onderzoek” of nog: “Bijna dagelijks begeleiden wij een 12-tal doelgerichte pogingen tot patiëntgebonden onderzoek”.

Een studie met een mogelijk nieuwe behandeling werd aangekondigd op het congres. PBT2, ontwikkeld door Prana Biotech, beoogt de wisselwerking te bemoeilijken tussen het gemuteerde huntingtine eiwit en een metaal zoals koper. Doel is het eiwit minder gevaarlijk te maken door te beletten dat het zich met zichzelf koppelt. PBT2 heeft enig effect bij de ziekte van Alzheimer en voorbereidende werkzaamheden bij ZvH model muizen zijn bemoedigend. Meer details over de studie zullen kortelings bekend gemaakt worden en je kunt er over lezen bij HDBuzz.net.

Tot slot sprak **Bernhard Landwehrmeyer** van het EHDN over de Dimebon Horizon studie die handelde over mentale problemen bij de ZvH (<http://hdbuzz.net/26>). Ondanks dat het geneesmiddel niet werkzaam is bij Huntington hoeft de studie niet als een mislukking beschouwd

te worden: De aanpak om op de gestelde vragen een antwoord te vinden was goed, en het werven en begeleiden was voorbeeldig. En dat is goed nieuws voor de toekomst.

Stel uw eigen uitgangspunten in vraag

Een wetenschapsthema op het congres handelde over het constant in vraag stellen van eigen uitgangspunten.

Zelfs bij personen met hetzelfde aantal CAG herhalingen varieert de leeftijd waarop de symptomen van de ziekte zich manifesteren. **Jim Gusella** bestudeert de factoren die invloed hebben op de leeftijd waarop ZvH symptomen zichtbaar worden. Tot zijn verbazing constateerde hij dat statische modellen die wetenschappers gebruikten mogelijk fouten vertoonden. Na correctie stelde Gusella vast dat meerdere genen waarvan verondersteld werd dat zij de begindatum van de ziekte beïnvloedden, - waaronder enkele ontdekt door zijn eigen groep - dat feitelijk niet doen.



Meerdere presentaties wezen op het groot aantal behandelingen dat bijna klaar is om getest te worden op mensen.

Dit lijkt misschien een terugval, maar overal ter wereld vindt onderzoek plaats naar genen die de ZvH beïnvloeden. De nieuwe robuuste analysetechnieken van Gusella zullen bijdragen tot het vinden van genen met echte impact op de ZvH. Dit is wetenschap op zijn best.

Hoewel de ZvH duidelijk de hersenen aantast spoort **Maria Björkqvist** ons aan om ook effecten van de ziekte buiten de hersenen te bestuderen. Ze benadrukte dat vele ZvH patiënten - misschien wel meer dan men mag verwachten overlijden aan de gevolgen van andere kwalen, bijvoorbeeld hartfalen. Uit Björkqvist 's eigen werk is gebleken dat Huntington model muizen problemen hebben met de spijsvertering, en dat dit mogelijk de symptomen verergert.

Het belang van denken buiten het klassieke patroon - de hersenen als onderzoeksobject - werd dramatisch benadrukt door **Paul Muchowski**. Hij heeft een geneesmiddel ontwikkeld dat niet op de hersenen inwerkt, maar dat wel gunstige effecten heeft bij Huntington model muizen. Muchowski bestudeert verbanden tussen het immuunsysteem - de natuurlijke verdediging van ons lichaam tegen ziekte - en de hersenen. De hersenen zijn meestal buiten het bereik van het immuunsysteem, omdat de "bloed-hersenen barrière" zorgvuldig de chemische stoffen beperkt die de hersenen kunnen bereiken.

Muchowski heeft een geneesmiddel ontwikkeld, JM6, dat een enzym - KMO genaamd - blokkeert in de witte bloedcellen. Hierdoor wordt indirect de aanmaak beperkt van een chemische stof die schade veroorzaakt aan de hersenen. JM6 verhoogde de levensverwachting van zowel Huntington als Alzheimer model muizen waarbij het idee wordt ondersteund dat behandelingen met impact buiten de hersenen toch kunnen bijdragen aan de bescherming van de hersenen.

Ondertussen heeft Muchowski ook gezocht naar eiwitten die CB2 detecteren. Ze worden enkel gevonden in immuuncellen buiten de hersenen. Na toediening van CB2-activerende geneesmiddelen leefden Huntington en Alzheimer model muizen opvallend langer dan normaal. Muchowski's onderzoek werd nog niet gepubliceerd na collegiale toetsing, maar we kijken daar wel naar uit.

De wereld is één groot laboratorium

De ZvH is niet beperkt tot één ras of land: Wereldwijd onderzoek heeft uitgewezen dat geen enkele groep gespaard wordt. Dit wil zeggen dat we de meeste Huntington patiënten aantreffen buiten Noord-Amerika en West-Europa, dus buiten de gebieden waar het merendeel van de researchcentra en zelfhulpgroepen i.v.m. de ZvH terug te vinden zijn.

Een doel van het congres was ook deze gemeenschappen te bereiken. Er is nu een nieuw netwerk van ZvH onderzoekers, artsen en families in Latijns-Amerika. **Red Latino-America de Huntington** heeft tot doel de Latijns-Amerikaanse Huntington gemeenschap samen te brengen om bij te dragen aan de ontwikkeling van nieuwe behandelingen.

Observatie proeven met personen die lijden aan de ZvH zijn een noodzakelijk onderdeel van research. Hierbij richt men zich op het observeren gedurende langere tijd van ZvH mutatiedragers en patiënten, met als doel de veranderingen te begrijpen die door de ziekte worden veroorzaakt. Dit helpt wetenschappers bij het organiseren van klinische studies die elk honderden vrijwilligers vereisen als we in ons opzet - het vinden van een behandeling - willen slagen.

Enroll-HD is een nieuwe wereldwijd georganiseerde observatie studie met als doel de bestaande grote REGISTRY en COHORT studies samen te voegen, en de nieuwkomers uit Latijns-Amerika, Singapore, Zuid-Afrika en Zuid-Korea hierbij te betrekken. Enroll-HD wordt de grootste studie ooit, en heeft als doel de weg te bereiden voor de volgende generatie klinische studies i.v.m. de ZvH.



Het Wereldcongres heeft wetenschappers samengebracht uit meer domeinen dan ooit, en die allen één gemeenschappelijk doel hebben: het ontwikkelen van een doeltreffende behandeling voor de ZvH.

Een nieuw communicatietijdperk breekt aan.

De ziekte van Huntington verbergt zich achter stilte en stigma. Eerlijkheid en openheid zijn krachtige wapens in de strijd hiertegen.

HDBuzz werd acht maanden geleden opgericht en Ed Wild, hoofdredacteur, samen met Jeff Carroll, gaf het congres een overzicht van het succes van HDbuzz: meer dan 50 000 bezoekers per maand, de steun van elf nationale en regionale Huntington verenigingen en vertaling in negen talen.

Met de hulp van de **OZ Buzz** functie werd het wetenschappelijk nieuws van de dag omgezet in duidelijke taal, en life interviews met topwetenschappers bracht de laatste stand van zaken dichter dan ooit voordien tot bij de families. Twitter Feeds, video's en tekstsamenvattingen kunnen online worden gevonden op www.hdbuzz.net.

Matt Ellison kondigde een belangrijke stap voorwaarts aan betreffende de communicatieaanpak: de aanstaande lancering van HDYO, de **Huntington Disease Youth Organisation** (Jongeren Organisatie van de Ziekte van Huntington). De lancering is gepland voor januari 2012, het doel is wereldwijd ondersteuning te bieden aan jongeren (kinderen, tieners en jong volwassenen) die betrokken zijn bij de ZvH. HDYO's aanpak zal ook meertalig zijn. Meldt u (of je?) aan bij hdyo.org om een e-mail bericht te ontvangen bij de lancering van HDYO.

Samenvatting

Wij hopen dat Oz Buzz u dichter bij het Wereldcongres heeft gebracht. Er werd een overvloed aan wetenschappelijke informatie voorgesteld, en we zijn nu al actief bezig aan meerdere nieuwe HDBuzz artikelen over onderwerpen die we tot nu toe slechts kort vernoemd hebben. De duurzame impact van het Wereldcongres wordt nog vergroot door nieuwe inzichten en afspraken rond wetenschappelijke samenwerking, en geven een geweldige draagkracht aan de wereldwijde inspanning om behandelingen te vinden voor de ZvH.

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

Verklarende woordenlijst

huntingtine eiwit eiwit dat geproduceerd wordt door het huntington-gen

KMO Kynurenine mono-oxygenase, een enzym dat de balans controleert tussen schadelijke en beschermende chemicaliën die vrijkomen bij de afbraak van eiwitten

JM6 Een experimenteel medicijn dat door het lichaam wordt omgezet in Ro-61, dat het enzym KMO remt

© HDBuzz 2011-2018. 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

Gegenereerd op 16 januari 2018 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/055>