

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

## ziekte van Huntington's Therapeutics Conference 2012 updates: Dag 2



Dag 2 van ons verslag over de Ziekte van Huntington's Therapeutische Conferentie 2012  
Geschreven door Dr Ed Wild op 22 november 2012  
Bewerkt door Dr Jeff Carroll; Vertaald door Hans van der Leer  
Origineel gepubliceerd op 1 maart 2012

*Ons tweede dagelijkse verslag van de jaarlijkse ZvH Therapeutische Conferentie in Palm Springs, Californië. De tweede dag werd er gefocust op Gene-Silencing=(gen-uitschakeling)*

### Woensdag 29 februari 2012

9:03 - Ziekte van Huntington (ZvH) congres update: Vanochtend ligt de focus op het uitschakelen van het gen - een erg spannende potentiële behandeling. Houd het in de gaten!

9:35 - **Beverly Davidson** (University of Iowa): Het uitschakelen van het gemuteerde gen in ZvH muizen heeft duidelijke voordelen, maar we moeten onbedoelde giftige effecten in gedachten houden.

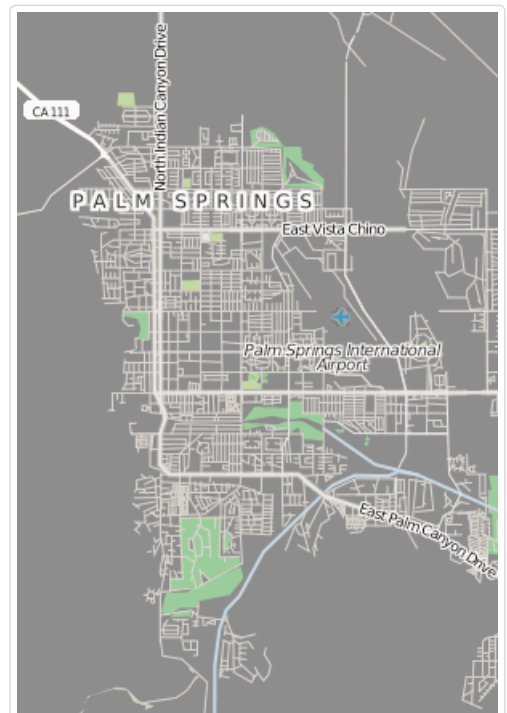
9:45 - **Davidson** is verantwoordelijk voor één van de drie recente artikelen die laten zien dat het uitschakelen van het Huntingtine gen veilig is in primaten - een belangrijke stap op weg naar de klinische studies bij mensens.

9:49 - Het team van **Davidson** werkt nu aan een nieuw medicijn dat de gemuteerde kopie van het gen meer uitzet dan de 'gezonde' kopie.

9:50 - Alleen het gemuteerde gen uitzetten is veiliger maar ook uitdagender. Beide benaderingen worden op dit moment onderzocht.

10:06 - **Frank Bennett** (Isis Pharmaceuticals) gebruikt iets andere DNA-achtige moleculen die ASO's heten om het Huntingtine gen uit te schakelen.

10:07 - **Bennett**: Het lijkt er op dat het Huntingtine gen relatief makkelijker is uit te zetten dan andere genen - dat is mazzel hebben!



De ZvH Thearapeutische Conferentie vindt plaats in Palm Springs, Californië  
Foto of beeldvorming: Open Street Map

10:10 - **Bennett's** Op ASO gebaseerde medicijnen worden beter door cellen opgenomen dan op RNAi gebaseerde medicijnen. Misschien makkelijker om het bij patiënten in te brengen - geen hersenoperatie?

10:13 - **Bennett's** bedrijf Isis Pharmaceuticals heeft ervaring in het uitschakelen van genen. Meer dan 2.000+ patiënten met andere aandoeningen hebben deze medicijnen toegediend gekregen.

10:17 - **Bennett:** Toen we het testten in 2 verschillende ZvH muismodellen, zorgden ASO gen-uitschakelmedicijnen voor verbeteringen van coördinatie en cognitie.

10:19 - **Bennett:** Bij primaten is een infuus met ASO in het ruggenmergvocht aan de basis van de ruggengraat voldoende om het medicijn te verspreiden in grote gebieden van de hersenen.

10:22 - **Bennett:** Zelfs eenmalige injecties van de gen-uitschakelende ASO kan al genoeg zijn om de hersenen te behandelen. Maar diepe regio's in de hersenen zijn lastiger te bereiken.

10:25 - **Bennett:** Veel mensen vertonen kleine "spellings-verschillen", onafhankelijk van de verlengde CAG herhaling, tussen de twee kopieën van het Huntingtine gen. Op deze verschillen kan gericht worden om medicijnen te ontwikkelen die alleen het gemuteerde gen uit schakelen.

11:04 - **Steve Zhang** (Sangamo BioSciences): 'zinkvinger eiwitten' kunnen zich binden met een specifieke DNA opeenvolging, dit verhoogt onze mogelijkheid om de genen aan te passen.

11:07 - Voor iedereen die meer details wil hebben, er zal snel een video van de gesprekken online staan en we zullen ook een samenvattend artikel schrijven.

11:10 - **Zhang:** Andere toepassingen van zinkvinger eiwitten omvatten het ontwerpen van stamcellen om algemene genetische ziektes in menselijke cellen te bestuderen.

11:18 - **Zhang's** bedrijf Sangamo heeft succesvol hemofilie behandeld in een muismodel gebruikmakend van 'genoom editing'(aanpassing van het genoom d.m.v.gen-therapie)

11:19 - **Zhang:** Zinkvingers kunnen ook gebruikt worden om genen aan-en uit te schakelen, een andere mogelijke aanpak tot gen uitschakeling.

11:20 - **Zhang:** We zouden ook kunnen proberen heilzame genen in te schakelen, zodat de hersenen meer beschermende chemicaliën aanmaken.

11:25 - **Zhang:** Een zinkvinger medicijn dat de hersenen beschermende chemische stof GDNF laat produceren wordt binnenkort getest in een klinische studie bij mensen met de Ziekte van Parkinson.

11:26 - Sangamo is nu ook betrokken bij ZvH-onderzoek.



Veel mensen hebben een klein "spellings-verschil", ongeacht de verlengde CAG herhaling tussen de 2 kopieën van het Huntingtine gen. Op deze verschillen kan gericht worden, door medicijnen te ontwikkelen die alleen het gemuteerde-gen uitschakelen.



11:29 - **Zhang**: Sangamo's huidige strategie is om te proberen de huntingtine-productie te verminderen met een op maat gemaakt zinkvinger-medicijn.

11:36 - **Zhang**: Zij werken ook aan een zinkvinger uitschakelmedicijn dat alleen werkt bij Huntingtine genen met een verlengde CAG herhaling.

11:53 - **Bill Kaemmerer** (Medtronic): Om nieuw gen uitschakel onderzoek mogelijk te maken hebben we biomarkers nodig om te testen op veiligheid en om te meten of het zijn werk goed doet.

12:02 - **Kaemmerer**: Een combinatie van MRI beeldvorming, CSF chemicaliën en klinische metingen zullen gebruikt worden voor vroeg RNAi gen uitschakel testen.

12:07 - **Kaemmerer** maakt deel uit van het team achter een ander recent veiligheids-onderzoek van Huntingtine gen uitschakeltechnieken bij primaten.

12:37 - **Neil Aronin** (University of Massachusetts School of Medicine) en zijn team proberen uitvoerig te onderzoeken hoe één specifieke gen uitschakeltechniek, RNAi precies werkt, zodat zij goede medicijnen kunnen ontwikkelen.

12:46 - **Aronin** en zijn team gebruiken schapen om neurochirurgische technieken te oefenen die noodzakelijk zijn voor klinische gen uitschakelstudies bij mensen.

## Slotconclusies

Er worden verschillende strategieën tegelijkertijd ontwikkeld om het Huntingtine-gen uit te schakelen, de uiteindelijke oorzaak van alle problemen binnen de ZvH. Er zijn nog enkele schoonheidsfoutjes, maar in principe hebben we tot nu toe alle tegengekomen obstakels overwonnen. Meerdere klinische studies met ZvH-patiënten worden nu gepland, die allemaal streven om snel te beginnen - binnen enkele maanden in plaats van jaren. De inzet is hoog, maar het is echt een spannende tijd.

---

*Dr. Wild en Dr Carroll's registratie kosten voor de Therapeutics Conference zijn door, de "CHDI Foundation Inc." sponsors van de bijeenkomst, op vriendelijke wijze kwijtgescholden, maar hun aanwezigheid is gesponsord door HDBuzz en het European Huntington's Disease Network, middels fondsen die onafhankelijk zijn van CHDI. CHDI heeft geen invloed op de inhoud van de verslaggeving van de onderwerpen op HDBuzz. Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangenconflicten, zie FAQ...*

---

## Geschiedenis van het artikel

27 maart 2012

Eerst gepubliceerd

22 november 2012

Kleine veranderingen

22 november 2012

Kleine veranderingen

22 november 2012

Kleine veranderingen

🕒 22 november 2012

Kleine veranderingen

---

## Verklarende woordenlijst

**ziekte van Parkinson** een neurodegeneratieve ziekte die, zoals de ZvH, motorische coördinatie problemen met zich brengt

**stamcellen** Cellen die kunnen delen in cellen van verschillende soorten, een cel die in staat is om in een ander celtype te veranderen (differentiëren)

**genoom** al het DNA van een levend organisme, verzamelnaam voor alle genen.

**GDNF** 'glial cell-derived neurotrophic factor': een groeifactor die zenuwcellen beschermd bij de ziekte van Parkinson, en misschien bij de ZvH

**CSF** heldere vloeistof geproduceerd door de hersenen die de hersenen en het ruggenmerg omringt en ondersteunt .

---

© 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](https://hdbuzz.net)

Gegenereerd op 20 januari 2018 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/076>