

## ziekte van Huntington Therapeutische Conferentie 2012 updates: Dag 3

Dag 3 van ons verslag van de Ziekte van Huntington Therapeutische Conferentie 2012



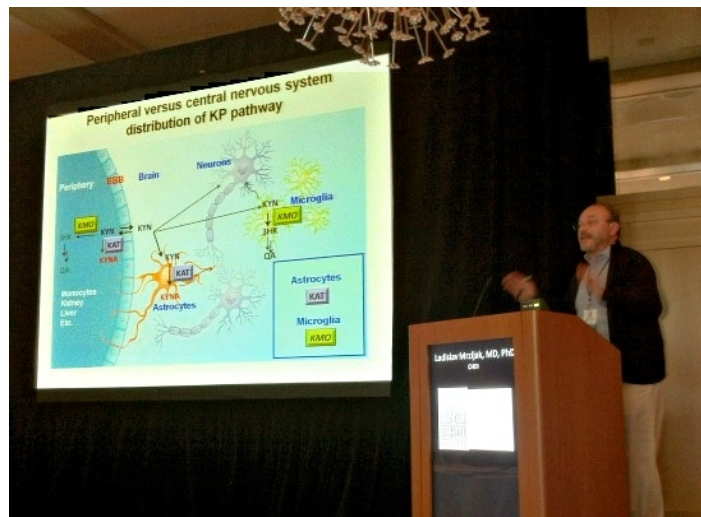
Geschreven door Dr Jeff Carroll 31 december 2012

Bewerkt door Professor Ed Wild Vertaald door Hans van der Leer  
Origineel gepubliceerd op 2 maart 2012

Ons derde en laatste dagelijks verslag van de jaarlijkse "Huntington's Disease Therapeutics Conference" te Palm Springs, California. We zullen in de komende weken een samenvattend artikel publiceren en interviews van de Conferentie.

### Donderdag, 1 maart 2012

9:10 - **Chris Schmidt** werkt voor Pfizer, een groot farmaceutisch bedrijf welk samenwerkt met het CHDI om nieuwe Ziekte van Huntington (ZvH) medicijnen te ontwikkelen.



*Ladislav Mrzljak: KMO-remmende medicijnen zouden kunnen profiteren van de interactie tussen de hersenen en het immuunsysteem*

9:23 - **Schmidt:** Medicijnen die voor andere aandoeningen door Pfizer zijn ontwikkeld, en die reeds op veiligheid bij mensen getest zijn, kunnen nuttig zijn voor de ZvH.

9:45 - **Schmidt:** Geneesmiddelen die zich richten op enzymen die gericht op enzymen die "phosphodiesterase (PDE)" genoemd worden blijken goed te werken bij gezonde menselijke vrijwilligers en deze kunnen nuttig zijn bij de ZvH.

9:59 - **Vahri Beaumont** van CHDI leidt de groep van Pfizer dat de geneesmiddelen in ZvH-muismodellen test om te onderzoeken of deze bij de ZvH werken.

10:01 - **Beaumont**: Hersencellen van ZvH-muizen laten op jonge leeftijd al duidelijke veranderingen zien. Het doel van de Pfizer-medicijnen is om deze veranderingen te repareren.

10:06 - **Beaumont**: Een mooie redding van de veranderde hersenencelfunctie in ZvH-muizen door de Pfizer stoffen - de behandelde cellen zien er veel normaler uit.

10:30 - **Schmidt**: Pfizer & CHDI plannen klinische studies met PDE medicijnen. Voorbereidend werk met patiënten vindt hopelijk in 2012 plaats. ZvH klinische studie in 2013?

10:33 - **Schmidt**: Zeer vroege plannen voor een 2-jarig durend onderzoek met een PDE-10-remmend geneesmiddel bij de ZvH worden aangekondigd, mits het werk goed blijft gaan.

11:07 - **Ladislav Mrzljak** leidt een team bij CHDI dat nieuwe medicijnen ontwikkelt die "KMO" (een enzym) remmend zijn, zie ons artikel over KMO waarom dit goed is.

11:14 - **Mrzljak**: KMO-remmende medicijnen zouden kunnen profiteren van de interactie tussen de hersenen en het immuunsysteem.

11:38 - **Mrzljak**: CHDI-246 is het KMO remmende medicijn van CHDI waar ze het meeste vertrouwen in hebben. Het presteert goed in laboratoriumtests naar wenselijke chemische activiteit.

11:41 - **Mrzljak**: Studies met CHDI-246 zijn reeds gaande in twee ZvH-muismodellen en één ZvH-ratmodel. Het bestuderen van medicijnen in meerdere muismodellen helpt te voorkomen dat er 'vals positieve' resultaten ontstaan, zodat alleen de beste geneesmiddelen bij klinische studies bij mensen gebruikt zullen worden.

12:01 - **Graham Bilbe** werkt voor het grote farmaceutisch bedrijf Novartis, ze testen het geneesmiddel Mavoglurant dat in de hersenen receptoren voor glutamaat blokkeert.

12:04 - **Bilbe**: Soms zijn decennia nodig om te bewijzen dat een geneesmiddel de moeite waard is om het bij mensen te testen.

12:07 - **Bilbe**: Het wordt verondersteld dat overactiviteit van het glutamaat systeem betrokken is bij vele ziektes.

12:13 - **Bilbe**: Vanwege de ongewenste bewegingen die Parkinson medicijnen kunnen veroorzaken, kreeg Novartis het idee dat glutamaat "blokkers" zouden kunnen werken bij de ZvH.

"Het ontbreken van basiskennis is niet langer de beperkende factor om behandelwijzen te vinden voor de ZvH "

12:16 - **Bilbe**: Mavoglurant leverde voordelen op bij een kleine studie bij de ziekte van Parkinson, en zal ook bij grotere studies gebruikt gaan worden.

12:27 - **Bilbe**: Novartis studie met Mavoglurant voor ZvH bewegingssymptomen bij de ZvH is net afgerond, op dit moment worden de gegevens geanalyseerd.

14:14 - CHDI heeft **Christina Sampaio** aangenomen als “chief clinical officer” (leidinggevend aan klinische studies) - dit is goed nieuws, want ze heeft veel ervaring met geneesmiddelenonderzoek.

14:18 - **Sampaio**: Om te slagen in het ontwikkelen van geneesmiddelen voor de ZvH moeten we hoofdstukken sluiten, en niet studies met mislukte medicijnen herhalen.

14:21 - **Sampaio**: We moeten niet proberen om de langste en grootste studies te kunnen draaien, maar nog slimmere studies.

14:41 - **Sampaio**: Andere ziekten dragen bij aan onderzoek bij de ZvH - RNAi studies bij Duchenne spierdystrofie helpen ons om over deze techniek te leren.

14:48 - **Sampaio**: Komende studies zullen zich waarschijnlijk richten op mensen met de ZvH die al symptomen hebben, want bij hen kan het succes van de behandeling worden gemeten.

14:50 - **Sampaio**: Als andere ziektes iets zijn om op af te gaan, zullen we meerdere behandelingen nodig hebben om de ZvH aan te pakken. VEEL benaderingen worden getest!

14:57 - **Sarah Tabrizi** (University College London) en haar team hebben het observationele TRACK-HD onderzoek afgerond die gepland stond om 3 jaar te draaien.

14:58 - **Tabrizi**: “Een gebrek aan basiskennis is niet meer de beperkende factor bij het vinden van behandelingen voor de ZvH.”

15:18 - **Tabrizi**: Veranderingen in de hersenen gezien met de MRI (hersenscan) kunnen voorspellen of iemand doorgaat met het ontwikkelen van symptomen te ontwikkelen - bij studies moeten ook MRI-scans gebruikt gaan worden.

15:25 - **Tabrizi**: De gegevens die over 3 jaar verzameld zijn van deelnemers aan TRACK-HD is vers van de pers en onthult veranderingen die kunnen worden gebruikt in ZvH studies.

15:29 - **Tabrizi**: Ondanks de hersenveranderingen van ZvH gendragers, zijn zij in staat om hiervoor te compenseren en jaren normaal te blijven functioneren.

15:37 - **Tabrizi**: Een nieuwe studie, TrackOn>HD, zal proberen te begrijpen hoe de hersenen van gendragers in staat zijn dit verlies kunnen compenseren.



*Simon Noble onthult het nieuwe CHDI logo*

16:10 - **Mark Guttman** (Centre for Movement Disorders) stelt de provocerende vraag - "Wanneer beginnen de ZvH symptomen?"

16:24 - **Guttman**: Artsen diagnosticeren 'de start van de ZvH' op basis van onwillekeurige bewegingen. Het is vaak moeilijk om er zeker van te zijn, onzekerheid kan zeer verontrustend zijn. Veel mensen met de ZvH en gezinnen rapporteren een 'spectrum' van symptomen voordat de 'officiële' diagnose gesteld wordt.

16:37 - **Guttman** vraagt zich af of we dit spectrum deel moeten laten uitmaken maken van de diagnostische criteria met inbegrip van methoden als MRI-scans. Een voordeel kan zijn dat eerdere behandelingen toegepast kunnen worden - mits we medicijnen hebben die werken.

16:40 - **Guttman**: Een groep van klinici, wetenschappers en vertegenwoordigers van patiënten werkt eraan deze mogelijkheid te onderzoeken.

16:58 - **Michael Hayden** (University of British Columbia): Veel nieuwe ZvH genetische diagnoses worden nu gesteld bij mensen die ouder zijn dan 60 jaar. Veel mensen weten niet dat ze risicodragers zijn.

16:59 - **Hayden**: Vanwege de stijgende levensverwachting zijn er nu mensen die lang genoeg leven om de ZvH te ontwikkelen, vroeger zouden zij al eerder van ouderdom gestorven zijn.

17:00 - Prevalentie is het woord dat wetenschappers gebruiken om aan te geven hoeveel individuen getroffen zijn door een bepaalde aandoening op een specifiek moment.

17:01 - **Hayden**: De daadwerkelijke prevalentie van Huntington is waarschijnlijk veel hoger dan eerder werd aangenomen.

17:03 - **Hayden:** Het verhoogde besef van de ZvH heeft ertoe geleid dat meer mensen met de ZvH onder de aandacht van de medici zijn gebracht.

17:05 - **Hayden:** Grondig onderzoek in British Columbia onthult dat de prevalentie twee keer zo hoog is als eerder werd aangenomen - ten minste 1 op de 6800

17:06 - **Hayden:** Dat betekent dat maar liefst 1:1000 mensen in British Columbia voor 25% of 50% risicodragers zijn.

17:16 - **Hayden:** Deze veranderingen vereist dat we nog beter in het diagnosticeren van de ZvH moeten worden en betekend dat er meer financiering voor de ZvH-zorg noodzakelijk is.

17:42 - **Simon Noble** onthult het CHDI logo - een boom gemaakt van moleculen representeert de ZvH families, verbondenheid en medicijnen.

18:02 - HDBuzz redacteuren \* Jeff \* en \* Ed \* beschrijven HDBuzz aan de deelnemers van de Therapeutische Conferentie terwijl we dit aan het schrijven zijn.

---

*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...*

---

## GLOSSARIUM

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

**prevalentie** Een cijfer dat een schatting geeft van het aantal personen in een bevolkingsgroep met een bepaalde medische aandoening.

**glutamaat** een signaalstof in de hersenen, "neurotransmitter" genoemd

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

---

© HDBuzz 2011-2020. 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)

Generereerd op 29 oktober 2020 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/077>