

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

ZvH Therapieën Conferentie 2013 Updates: Dag 2



Dag 2 van onze behandeling van de ZvH Therapieën Conferentie

Geschreven door Dr Ed Wild op 24 mei 2013

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

Origineel gepubliceerd op 10 april 2013

Onze tweede dagrapportage van de jaarlijkse ZvH Therapieën Conferentie in Venetië, Italië. Je kan tweeten naar @HDBuzzFeed, reageren op Facebook, of HDBuzz.net gebruiken om ons vragen of opmerkingen te sturen.

9:09 - Goedemorgen! Jeff en Ed zullen updates plaatsen van dag twee van de ziekte van Huntington therapieën conferentie.

9:14 - Ter herinnering voor diegenen die het gemist hebben: er is afgelopen week een deal met betrekking tot de ZvH gesloten ter waarde van \$30 miljoen - zie ons artikel 'Belangrijke Roche-Isis deal versnelt ontwikkeling ziekte van Huntington-genuitschakeling'.

9:17 - De eerste sessie gaat over het huntingtine eiwit: wat is het, wat doet het en hoe veroorzaakt het schade?

9:26 - **Dr Hilal Leshuel** van EPFL, Frankrijk, heeft toffe manieren om eiwitten te maken in het laboratorium zodat er mee gespeeld kan worden en ze onderzocht kunnen worden. Hij heeft deze technieken gebruikt om een cruciaal Parkinson's eiwit, alpha-synuclein, te bestuderen. Hij kan deze kunstmatige eiwitten kunstmatig 'labelen' om te zien hoe cellen ze verschillend behandelen afhankelijk van deze verschillende labels. Door het label abiquitin toe te voegen aan de alpha synuclein wordt voorkomen dat deze zich vasthechten in klonten (huntingtine doet dit ook). Door verschillende technieken te gebruiken die ontwikkeld zijn voor de ziekte van Parkinson kan zijn laboratorium nu de chemische aanpassingen van het ZvH-eiwit direct onderzoeken. **Lashuel** zegt dat simpele chemische aanpassingen van het normale ZvH-eiwit er voor kan zorgen dat het zich gaat gedragen als een gemuteerd eiwit - door het samen te laten klonten tot 'aggregaten'.



Er werden meer dan honderd projecten gepresenteerd tijdens de postersessie van woensdagmiddag.

10:06 - **Gerardo Morfini**: ZvH-patiënten ervaren verlies van 'witte materie' in de hersenen, wat gemaakt is van axonen, dit suggereert dat het belangrijk is om deze te begrijpen. **Morfini** bestudeert de axonen van inktvissen! Ze zijn gigantisch, dus veel gemakkelijker om mee te werken dan met de axonen van mensen of muizen. Hij heeft bevonden dat het gemuteerde ZvH-eiwit voor files zorgt in de axonen, waardoor het verkeer van de zenuwcellen vertraagt. Hij

is op zoek naar medicijnen die de snelheid van het verkeer in axonen versnelt, zodat hij de effecten van het gemuteerde ZvH-eiwit tegen kan gaan. **Morfini** wil begrijpen hoe axonen - het lange gedeelte van zenuwcellen die de boodschappen naar andere zenuwcellen verstuurt - binnen de ZvH afsterven.

10:39 - **James Surmeier** tracht te begrijpen welke specifieke hersencellen als eerst afsterven binnen de ZvH - wat maakt deze zo kwetsbaar? Hij gebruikt de laatst ontwikkelde microscopen en technieken om de individuele connecties tussen hersencellen - synapsen - te bestuderen bij ZvH-muizen. Hij merkt op dat communicatie tussen hersencellen verbeterd wordt door middel van een medicijn dat spoedig getest zal worden bij ZvH-patiënten.

11:41 - **Philip Gregory** werkt samen met Sangamo, een bedrijf dat 'gereedschap' ontwikkelt waarmee het DNA van ZvH-patiënten daadwerkelijk aangepast kan worden, zodat de mutatie verwijderd kan worden. **Gregory** zegt dat Sangamo probeert hun gereedschap te verfijnen zodat ze alleen het gemuteerde ZvH-gen kunnen aanpassen, terwijl het gezonde ZvH-gen alleen gelaten wordt. **Gregory** claimt dat het aanpassen van gemuteerde ZvH-genen in de hersenen, dus niet alleen in de cellen, van gezonde muizen werkt - goed nieuws voor de doorzetting naar toepassing op mensen.

12:10 - **David Corey** werkt aan nieuwe manieren om het gemuteerde ZvH-gen uit te schakelen. Hij wil middelen vinden om de niveaus van het gemuteerde ZvH-gen te verminderen, terwijl het normale gen dat belangrijke functies heeft, behouden wordt. Zijn team heeft drie verschillende klassen aan chemicaliën die allemaal hetzelfde doen - cellen helpen de niveaus van het gemuteerde ZvH-gen te verminderen.

14:56 - We zijn nu aangekomen bij de postersessie, waar meer dan honderd toffe ZvH-projecten gepresenteerd en besproken worden.

16:18 **Dr Steve Goldman** van de Universiteit van Rochester bespreekt de essentie over nieuwe celmodellen om de ziekte van Huntington te begrijpen. Hij weet ons te vertellen dat men tot voor kort dacht dat de hersenen geen nieuwe hersencellen kon aanmaken, maar tot op zekere hoogte is dat wel mogelijk (bij muizen, in ieder geval). We beginnen te begrijpen hoe we de productie van nieuwe zenuwcellen door de hersenen kunnen aansturen, zelfs bij ZvH-muizen. Bij ZvH-muizen lijkt het er op dat nieuwe zenuwcellen die geproduceerd zijn door de stamcellen van de hersenen, zelf mogelijk tot op zekere hoogte verloren cellen kunnen vervangen. **Goldman** heeft ZvH-muizen behandeld met door virus toegediende instructies om nieuwe zenuwcellen langer te laten leven dan onbehandelde muizen (Goldman's werk zal spoedig gepubliceerd worden in het journal "Cell Stem Cell", we zullen hier zeker weten een artikel over schrijven!). Het vervangen van hersencellen door het gebruik van stamcellen van embryo's is eerder geprobeerd maar werkte niet zo goed, waarschijnlijk omdat we niet begrepen

“

Corey's team heeft drie verschillende chemische klassen van een stof die allen hetzelfde doen - helpen de niveaus van het gemuteerde ZvH-gen in cellen te verminderen.

”

hoe we voor de cellen moesten zorgen, ze te voeden zodat ze zenuwcellen zullen worden en ze zover te krijgen dat ze de juiste connecties maken wanneer ze getransplanteerd worden in de ZvH-hersenen. **Goldman** zegt dat we nu een beter begrip aan het ontwikkelen zijn over hoe celtransplantaties kunnen werken (maar we zijn nog niet klaar voor nieuwe klinische testen). De hersenen bevatten vele verschillende soorten cellen - zenuwcellen, die voor het denken zorgen zijn de meest bekende, maar er zijn een heleboel 'ondersteunende cellen'. Eén soort van die 'ondersteunende' cellen heet astrocyten. Cellen van menselijke embryo's die geïnjecteerd worden in muizenhersenen kunnen de cellen van de muis zelf vervangen. Binnen de ZvH zou het goed kunnen zijn om stamcellen van embryo's te transplanteren en te hopen dat ze de astrocyten van de ZvH-patiënt zullen vervangen. Astrocyten helpen bij de elektrische activiteit van zenuwcellen, het hebben van gezonde astrocyten zou dus goed moeten zijn voor ZvH-hersenen. Let op dat deze mens/muisexperimenten nog niet geprobeerd zijn bij ZvH-muizen - enkel bij gezonde muizen. Desalniettemin een innovatief verhaal. **Goldman** en anderen hebben betere recepten voor het kweken van 'medium spiny neuronen uit stamcellen. Dat zijn de zenuwcellen die vroeg afsterven binnen de ZvH.

18:12 - **George Yohrling** van de HDSA kondigt het Human Biology Research Fellowship programma aan. Dit financiert patiëntgericht ZvH-onderzoek.

Eindconclusies

Het is het einde van dag twee, en we komen steeds dichterbij het gebied van ideeën en aanpakken die direct gericht zijn op het behandelen van de ZvH, nu en in de toekomst. Door het praten met familieleden weten we hoe frustrerend het is om constant te horen dat behandelingen dichterbij komen, omdat alle ZvH-familieleden willen horen dat we een behandeling hebben die op dit moment werkt. We kunnen alleen de woorden van Robert Pacifici, hoofd wetenschapper van het CHDI, herhalen: "De medicijnen zijn onderweg."

We hebben vandaag over veel behandelingen gehoord, waarvan sommigen **enorm** dicht bij klinische testen liggen, en anderen wat meer onderzoekend en experimenteel zijn. Medicijnjagers noemen dit een "volle pijpleiding", en het is een teken van een gezond, bloeiend onderzoeksprogramma met de potentie om medicijnen voor de ZvH te leveren die zowaar zullen werken, en het zou steeds beter moeten worden met elk komend jaar. Morgen, tijdens de laatste dag van de bijeenkomst, zullen CHDI wetenschappers langverwachte updates geven over hun interne programma's waarin ze streven naar sommige van de meest veelbelovende doelen binnen ziekte van Huntington therapieën.

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

Verklarende woordenlijst

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

huntingtine eiwit eiwit dat geproduceerd wordt door het huntington-gen
genuitschakeling 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.

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

embryo vroegste fase in de ontwikkeling van een baby, wanneer het slechts uit een paar cellen bestaat.

© 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 20 januari 2018 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/124>