

EuroBuzz 2014: dag twee

HDBuzz doet verslag op de tweede wetenschapsdag van het EHDN in Barcelona



Geschreven door Dr Jeff Carroll

2 mei 2015

Bewerkt door Professor Ed Wild

Vertaald door Lieke Klein Haar

Origineel gepubliceerd op 20 september 2014

Hier is het live twitter verslag van Ed en Jeff over de tweede dag van het EHDN 2014 congres. Ons laatste verslag komt morgen, en een video van onze afsluitende sessies vanaf het podium volgt snel.

07:59 – ZvH wetenschappers, zoals veel mensen die in hightech omgevingen werkzaam zijn, zwemmen in de data die ze gegenereerd hebben uit hun experimenten.

08:00 – De wetenschap van vandaag begint met een lezing over ‘systeem biologie’, computer technieken die helpen bij het begrijpen van data, door Christian Neri.



Ralf Reilmann en andere wetenschappers hebben VIJF nieuwe ZvH klinische proeven aangekondigd

08:02 - **Christian Neri** opent de tweede dag van het EHDN14. Neri zegt dat systeem biologie de ZvH experimenten die gedaan zijn bij verschillende diersoorten aan elkaar kan linken. De links tussen de diersoorten noemt hij ‘rits genen’. Met computers die gigabytes, en zelfs terabytes, aan data van experimenten genereren om de ZvH te snappen, hoe kunnen we dit allemaal begrijpen? Neri’s team werkt niet alleen aan hun eigen “grote data”, maar gebruikt hun theorieën ook op data gegenereerd door wetenschappers van over de hele wereld.

08:58 – Nu bij het EHDN14, een sessie over klinische proeven. Blijf erbij voor opwindend nieuws.

09:02 – Nu begint een opwindende sessie over de status en de toekomst van klinische proeven voor de ZvH, dat is waarom we hier zijn! De EHDN heeft een speciale eenheid voor klinische proeven opgericht, een groep experts die helpt met het ontwerpen en uitvoeren van ZvH klinische proeven. Deze speciale eenheid van het EHDN is ontworpen om groepen die nieuw zijn bij de ZvH te helpen bij het ontwerpen en uitvoeren van goede proeven.

09:23 - **Bernhard Landwehrmeyer** spreekt op deze conferentie over de status van het "Pride-HD" onderzoek naar Pridopidine. Pridopidine, eerder bekend als "Huntexil", liet motorieke vooruitgang zien in twee eerdere proeven (HART en MermaiHD). Het Pride-HD onderzoek wordt geleid door Teva Pharmaceuticals en wordt ondersteund door het EHDN.

09:34 - **Jan Vesper** leidt een proef naar "diepe hersenstimulatie" voor de ZvH – het stimuleren van specifieke gebieden in het brein met elektrodes. In zes patiënten die gevolgd werden voor twaalf maanden zijn elektrodes geïmplanteerd, en sommige van hen lieten vooruitgang in bewegingssymptomen zien. Gebaseerd op deze resultaten start Vesper een grotere studie met 40 patiënten in 4 Europese landen, genaamd HD-DBS.

09:42 - **Ralf Reilmann** spreekt op het EDHN over 'Legato-HD', een proef met het medicijn genaamd Laquinimod bij ZvH patiënten. Laquinimod is een medicijn dat het proces van 'ontsteking' blokkeert, dat voorkomt in het brein van ZvH patiënten. Laquinimod is getest bij patiënten met multiple sclerose, een andere ziekte waarbij ontsteking en het sterven van neuronen bij betrokken zijn. Legato-HD zal opgezet worden om de veiligheid van Laquinimod te bestuderen in ZvH patiënten, en hoe het wellicht motorische symptomen kan verbeteren. De TRACK-HD studie heeft geholpen bij de opzet van LEGATO-HD en andere klinische proeven. Omdat de studie gefocussed is op veranderde bewegingssymptomen, zal een aantal hersen beeldvormingen uitgevoerd worden. Ralf Reilmann zegt "Bij het EHDN zijn we betrokken bij alle klinische studies".

09:53 - **Christina Sampaio** van de CHDI stichting geeft een update aan de aanwezigen over een groep medicijnen genaamd "PDE10 remmers". Momenteel zijn er twee farmaceutische bedrijven (Omeros en Pfizer) die zich bezighouden met PDE10 remmende medicijnen. De Omeros studie bevat 120 ZvH patiënten in de VS. Het primaire doel is het vaststellen van de veiligheid, maar ze kijken ook naar de symptomen van de ZvH. De Pfizer klinische studie ("APACHE") bevat 56 patiënten in Frankrijk, en richt zich op de beeldvorming van hersenfuncties. Een tweede Pfizer klinische studie is twee dagen geleden gestart, genaamd "Amarylis", en zal patiënten uit de VS, Canada, Duitsland en Polen bevatten. Een vroege fase van het Amarylis onderzoek gebruikt beeldvorming van de hersenen, zodat onderzoekers het effect van het medicijn in de hersenen van patiënten kunnen bekijken.

"Wow, wat een sessie! Zo veel nieuwe spannende onderzoeken worden besproken. Het is een goede tijd voor ZvH onderzoek! "

10:05 - **Sarah Tabrizi** bediscussieert de staat waarin het eerste onderzoek van ZvH gen uitschakeling in mensen zich bevindt. Erg spannend nieuws! Isis Pharmaceuticals heeft medicijnen ontwikkeld die de niveaus van het huntingtine eiwit omlaag brengen, genaamd "Antisense Oligonucleotides". Deze ASO's maken ZvH muismodellen beter wanneer ze in de hersenen worden gebracht. Isis heeft een speciaal medicijn ontwikkeld, "HttRx", dat ze willen inbrengen bij ZvH patiënten door het in het ruggenmergvocht te spuiten. Momenteel is Isis bezig met het afronden van belangrijke dieren toxiciteit studies om er zeker van te zijn dat het medicijn veilig is voordat het in mensen wordt gebruikt.

10:11 - **Sarah Tabrizi**: De eerste studie gaat "helemaal over veiligheid", en is ontworpen zodat de afgifte van ASO's in de hersenen de patiënten geen pijn doet. Injectie van medicijnen in het ruggenmergvocht wordt al gebruik in studies naar kanker. ASO's die afgegeven worden in het ruggenmergvocht verspreiden zich door de hersenen. Het plan is om ze met tussenpozen af te geven, in plaats van constant. Isis werkt ook aan een andere ziekte, Spinale Musculaire Atrofie (SMA), waarbij ze aan kinderen soortgelijke medicijnen geven via soortgelijke technieken. Kinderen met SMA hebben medicijnen gekregen die vergelijkbaar zijn met HttRx, en dat was veilig. Meer dan zeventig SMA patiënten hebben ASO's gekregen via het ruggenmergvocht zonder nadelige effecten. Onderzoek van het hersenweefsel van een SMA patiënt die behandeld is met ASO's laat zien dat dit medicijn zich wijd verspreid in de hersenen. De gen uitschakeling klinische studie staat gepland voor de eerste helft van 2015, en zal volledig gericht zijn op veiligheid. ASO's dringen niet goed door tot in het striatum, een hersengebied dat belangrijk is in de ZvH, maar het verspreid zich wel goed in de cortex. Het doel van de eerste studie naar ASO's in de ZvH is om zeker te weten dat ze veilig zijn.

10:17 – Wow, wat een sessie! Zo veel nieuwe spannende onderzoeken worden besproken. Het is een goede tijd voor ZvH onderzoek!

12:06 – Deze middag gaan we praten over ZvH symptomen buiten de hersenen, een weinig onderzocht maar belangrijk aspect van de ZvH.

12:07 - **Gill Bates** van het King's College in Londen presenteert haar bevindingen van afwijkingen in de hartspieren van ZvH muizen. Ze is al erg lang geïnteresseerd in hele lichaam symptomen in de ZvH, en ze gebruikt muismodellen van de ziekte om deze symptomen te bestuderen. Wanneer haar laboranten goed kijken zien ze veranderingen in een aantal weefsels in ZvH muizen – vet, huid, lever en andere organen. ZvH muizen vertonen veranderingen in het functioneren van hun hart na verloop van tijd, in vergelijking met niet-ZvH muizen. Maar maakt dit uit? Hebben ZvH patiënten problemen met hun hart? Er is bewijs dat ZvH patiënten vaak overlijden door een hartziekte, en dat ze een licht abnormale hartfunctie hebben.

12:18 - **Gill Bates** is ook geïnteresseerd in skeletspieren in ZvH muizen, die minder spiermassa hebben als ze ouder worden. Over het algemeen weten we veel over hoe spieren groeien en afnemen. Kan deze kennis ons helpen begrijpen wat er aan de hand is bij

de ZvH? Ze gebruikt experimentele medicijnen in haar muizen om te kijken of ze kan voorkomen dat de spieren slinken. Behandelde muizen verliezen geen gewicht, terwijl onbehandelde muizen een significante hoeveelheid aan gewicht verliezen. De spieren van behandelde muizen krimpen niet, zoals spieren in ZvH muizen normaal wel doen. Interessant genoeg presteren ZvH muizen die behandeld zijn met medicijnen die de spierfunctie verbeteren niet beter bij bewegingstesten.

12:40 - **Maria Björkqvist** van de Lund Universiteit is ook een 'heel-lichaam' ZvH onderzoeker. Björkqvist heeft gekeken naar monsters van vetweefsel afkomstig van ZvH patiënten om te zien of de mutatie daar iets in veranderd. Er zijn verschillen in welke genen aan- en uitgeschakeld zijn in het vetweefsel van ZvH patiënten. Veranderingen in vetweefsel die aan de ZvH zijn gekoppeld kunnen belangrijk zijn omdat veel ZvH patiënten gewicht verliezen.



Barcelona is gastheer van het European Huntington's Disease Network Plenary Meeting

13:01 - **Michael Orth** uit Ulm presenteert de eerste resultaten van het eerste 'multi-weefsel-moleculair' oftewel MTM studie in de ZvH. De MTM studie heeft monsters genomen van huid, bloed, vet en spierweefsel van dezelfde patiënten om de effecten van de mutatie te kunnen bestuderen. Orth vertelt ons dat dusverre spierweefsel van ZvH patiënten er heel normaal uitziet! Maar er kunnen nog steeds subtiele veranderingen te vinden zijn. Bepalen wat normaal is in de ZvH is net zo belangrijk als ontdekken wat abnormaal is.

16:29 – We bereiden iets speciaals voor voor de sessie op het podium die over een half uur begint.

17:09 – We hebben net bij professor Bernhard Landwehrmeyer (de voorzitter van het EHDN) een taart in het gezicht gegooid voor de ZvH. <http://youtu.be/CjvcnnUoJ9E>.

17:18 – Dr. Jeff Carroll (medeoprichter van HDBuzz) krijgt ook een taart in zijn gezicht voor de ZvH. <http://youtu.be/LD9SpD1Plyg>

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

GLOSSARIUM

ontsteking activatie van het immuunsysteem waarvan gedacht wordt dat het betrokken is bij ziekteproces van de ZvH.

PDE10 een eiwit in de hersenen dat een goed doel voor medicijnen en een biomarker kan zijn voor de ZvH. PDE10 wordt haast exclusief gevonden in delen van de hersenen waar hersencellen sterven als gevolg van de ZvH.

© HDBuzz 2011-2021. 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 6 april 2021 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/175>