

EuroBuzz 2014 Video, dag twee

De video van onze tweede live sessie op de Europese ZvH Netwerk Bijeenkomst.



Geschreven door [Dr Jeff Carroll](#)

16 november 2015

Bewerkt door [Dr Ed Wild](#)

Vertaald door [Lieke Klein Haar](#)

Origineel gepubliceerd op 10 oktober 2014

Ed and Jeff presenteren de tweede dag van de Europese ZvH Netwerk bijeenkomst in Barcelona. Onder andere een samenvatting van klinische proeven, een exclusief interview met Prof Sarah Tabrizi over de eerste proef van een huntingtine verlagende 'gen-uitschakeling' medicijn, en een verrassing voor de voorzitter van het EZHN, Professor Bernard Landwehrmeyer.

[ondertiteling]

0:00:18.380,0:00:18.630 PRESENTATOR: Dames en heren, een hartelijk welkom voor jullie gastheren voor de tweede en laatste

0:00:18.619,0:00:19.300 aflevering van Eurobuzz: Dr Jeff Carroll en Dr Ed Wild.

0:00:19.300,0:00:19.550 [Applaus]

0:00:19.359,0:00:23.660 ED: Goedenavond. Dank, en nogmaals welkom – en ook dank voor de introductie

0:00:23.660,0:00:25.080 man; ik vind hem geweldig. [Gelach]

0:00:25.080,0:00:29.890 ED: Ik houd van zijn stem. Hij heeft echt een talent. Ik moet uitvinden wie hij is.

0:00:29.890,0:00:34.640 Ik ga deze achtergrond uitzetten uit risico voor epilepsie.

0:00:34.640,0:00:39.800 [Gelach] ED: Welkom terug. Mijn naam is Ed en dit

0:00:39.800,0:00:44.690 is, zoals de presentator al zei, de tweede en laatste avond dat we de verwerking van

0:00:44.690,0:00:51.430 de gepresenteerde wetenschap presenteren, voor het belang van iedereen in de zaal

0:00:51.430,0:00:56.170 en voor iedereen die thuis op het internet kijkt via HD Buzz.

0:00:56.170,0:01:02.600 JEFF: Hoi allemaal. Mijn naam is Jeff Carroll. Sommigen van jullie weten niet dat we live hebben getweet

0:01:02.600,0:01:06.210 tijdens alle sessies. Het spijt me dat ik dat nu pas vertel, nu jullie de kans gemist hebben

0:01:06.210,0:01:10.780 om rond te hangen bij het zwembad en op de hoogte te zijn van wat er gebeurde, maar je kan ons morgen volgen

0:01:10.780,0:01:14.640 via HD Buzz feed, als je dat leuk vindt. Ook geven we aan het einde van elke dag een samenvatting,

0:01:14.640,0:01:17.420 dus als je iets ziet waarvan je denkt: "Dat is leuk, dat wil ik aan mijn familie

0:01:17.420,0:01:22.560 vertellen," de verhalen van gisteren staan al op HDBuzz.net, en die van vanavond zullen op de site

0:01:22.560,0:01:25.740 gezet worden wanneer jullie aangeschoten zijn door het drinken in de vele

0:01:25.740,0:01:27.590 drinkgelegenheden.

0:01:27.590,0:01:27.840 [Gelach]

0:01:27.590,0:01:34.139 ED: Zoals degenen van jullie in de aula zojuist hebben gehoord, is dit de 10e verjaardag

0:01:34.139,0:01:38.170 van het Europese Ziekte van Huntington Netwerk, maar voor degenen die hier niet

0:01:38.170,0:01:44.079 fysiek aanwezig zijn maar thuis kijken, dachten we dat het leuk zou zijn om uit te leggen

0:01:44.079,0:01:48.709 wat dat voor ons betekent. Een tiende verjaardag van iets is natuurlijk een hele prestatie,

0:01:48.709,0:01:53.139 maar wat is er nou zo speciaal aan dit netwerk? Wat is het nut van een netwerk?

0:01:53.139,0:02:00.109 Wat is het Euro ZvH netwerk? Simpel gezegd, zo simpel als nodig is voor

mij om het te begrijpen,

0:02:00.109,0:02:05.130 is het een netwerk van professionals die gelinkt zijn aan familieleden, wiens doel is – wiens gezamenlijke

0:02:05.130,0:02:11.150 doel – om de levenskwaliteit te verbeteren van degenen die leven met (de risico's) van de Ziekte van

0:02:11.150,0:02:15.120 Huntington. De professionele kant is die van de clinici, dus de

0:02:15.120,0:02:19.380 mensen die betrokken zijn met de patiëntenzorg – artsen, verpleegkundigen, fysiotherapeuten, genetisch adviseurs

0:02:19.380,0:02:23.890 en een boel andere gezondheidsprofessionals. Er zijn ook wetenschappers, dus mensen die werken in

0:02:23.890,0:02:28.860 laboratoria en in andere wetenschappelijke settings waarin ze onderzoek doen, maar die niet per se directe interactie

0:02:28.860,0:02:31.830 hebben met patiënten. Dat is de kern van het netwerk, maar het is

0:02:31.830,0:02:38.040 ook nauw verbonden met patiëntenorganisaties uit heel Europa. En het is ook niet alleen Europees;

0:02:38.040,0:02:42.400 het netwerk heeft connecties met andere netwerken over de hele wereld, zoals de Huntington Study

0:02:42.400,0:02:47.230 Group en verscheidene nieuwe netwerken, zoals de Zuid Amerikaanse en de Chinese netwerken. En

0:02:47.230,0:02:52.020 er zijn ereleden, dus heel veel mensen die bijdragen aan samenkomsten zoals deze zijn niet

0:02:52.020,0:02:56.980 noodzakelijk afkomstig uit Europa, maar ze vertellen dingen die Europeanen moeten horen. En er zijn

0:02:56.980,0:03:00.100 veel samenwerkingsverbanden, zowel binnen als buiten Europa.

0:03:00.100,0:03:03.630 Wat is er bereikt in tien jaar? Dat klinkt geweldig, maar wat is er nou precies gebeurt? Jamie

0:03:03.630,0:03:09.740 Levey is zo vriendelijk geweest om mij wat cijfers te leveren. We houden van cijfers. Er zijn meer dan over 2.000 leden,

0:03:09.740,0:03:15.240 meer dan 2.000 professionals betrokken bij ZvH zorg en onderzoek in Europa,

0:03:15.240,0:03:20.550 inclusief ereleden. In twintig landen heeft het Euro ZvH Netwerk 159 studie

0:03:20.550,0:03:27.550 plekken opgericht. Veel van deze plaatsen zijn multidisciplinaire klinieken die rechtstreeks patiëntenzorg verlenen.

0:03:28.900,0:03:34.150 De bijdragen van het Euro ZvH Netwerk zijn cruciaal geweest voor het opzetten van deze klinieken,

0:03:34.150,0:03:38.770 dus dat is een directe bijdrage aan de zorg van ZvH patiënten en familieleden – naast

0:03:38.770,0:03:43.010 het feit dat deze klinieken nu zorgen voor 159 plaatsen waar mensen naartoe kunnen

0:03:43.010,0:03:49.780 om deel te nemen aan ZvH onderzoek, wat geweldig is. Er is een financieringssysteem. Dit is een

0:03:49.780,0:03:55.580 manier waarop het Euro ZvH Netwerk strategisch geld doneert, in de vorm van fondsen, voor

0:03:55.580,0:04:00.700 wetenschappers die onderzoek willen doen dat anderen niet willen financieren. De ZvH is een relatief

0:04:00.700,0:04:05.330 zeldzame aandoening, maar slechts een klein geldbedrag om 'proef data' te genereren

0:04:05.330,0:04:10.130 geeft mensen de mogelijkheid om een groter project op te zetten dat, zoals is bewezen,

0:04:10.130,0:04:14.560 financiering kan krijgen van grotere organisaties.

0:04:14.560,0:04:20.130 Dat klinkt geweldig, maar wat werd tot nu toe bereikt? Zestig wetenschappelijke publicaties zijn voortgekomen

0:04:20.130,0:04:27.120 uit dat financieringsprogramma alleen. De niet te meten voordelen van dat systeem... ik weet zeker,

0:04:27.120,0:04:31.259 als een uitgaand lid van de Wetenschappelijke en Bioethische Advies Commissie, dat dit

0:04:31.259,0:04:35.340 systeem wetenschappers uit andere domeinen heeft aangesproken die anders nooit betrokken zouden zijn

0:04:35.340,0:04:40.060 bij de ZvH. En daarna doen de families hun werk om ze betrokken te houden, want

0:04:40.060,0:04:47.060 wanneer je ZvH familieleden ontmoet dan is het heel moeilijk om te stoppen met ZvH onderzoek. Het binnenbrengen van onderzoekers

0:04:48.720,0:04:54.270 uit andere vakgebieden om deel te nemen aan onderzoek dat is gefinancierd door Euro ZvH, heeft een groot

0:04:54.270,0:04:57.270 verschil gemaakt en heeft een groot aantal prominente onderzoekers aangetrokken die hier

0:04:57.270,0:05:01.750 anders niet zouden zijn. En medicijnstudies? Acht klinische studies

0:05:01.750,0:05:06.690 zijn ondersteund door het Euro ZvH netwerk en expertise – en zoals we straks gaan

0:05:06.690,0:05:11.190 horen, zijn er meer onderweg. Het is een zeer spannende tijd.

0:05:11.190,0:05:15.430 Hoeveel mensen zijn er in aanraking gekomen met het Euro ZvH Netwerk? Dat is moeilijk te zeggen,

0:05:15.430,0:05:21.850 maar als we alleen al kijken naar de werving voor de klinische proeven die de EZHN heeft gedaan,

0:05:21.850,0:05:26.520 dan zien we dat er meer dan 13.000 familieleden hebben bijgedragen aan die onderzoeksprojecten – voornamelijk

0:05:26.520,0:05:32.430 REGISTRY en ENROLL-HD. Nogmaals, veel meer mensen zullen blijven bijdragen aan onderzoek in

0:05:32.430,0:05:37.600 de toekomst. Aan de kant van onderzoek zijn er meer dan 10.000 biologische

0:05:37.600,0:05:42.210 monsters verzameld van ZvH familieleden, en die zijn cruciaal voor

0:05:42.210,0:05:49.210 onze onderzoeksinspanningen. Zoals ik al had gezegd, zijn er dingen die men niet kan meten, dus de invloed van het netwerk

0:05:49.400,0:05:55.220 strekt veel verder dan deze cijfers. Je moet maar van mij aannemen, denk ik, dat door netwerken

0:05:55.220,0:06:00.270 zoals deze en vergelijkbare netwerken, de wereldwijde ZvH onderzoeksgemeenschap één van de grootste

0:06:00.270,0:06:05.150 troeven is die we hebben. Door samen te werken en onze informatie en expertise vrijelijk te delen,

0:06:05.150,0:06:11.230 versnelt het onderzoek drastisch, en dat is cruciaal voor families.

0:06:11.230,0:06:15.350 JEFF: Het doel van dit onderzoek is, klaarblijkelijk, het ontwikkelen van behandelingen die een

0:06:15.350,0:06:18.910 verschil maken in de levens van ZvH patiënten. Degenen onder ons die uit

0:06:18.910,0:06:22.960 ZvH families komen of regelmatig spreken met ZvH families en hen helpen met de zorg, zullen

0:06:22.960,0:06:27.240 bekend zijn met de zin “Waarom duurt het zo lang?” – de teleurstelling

0:06:27.240,0:06:31.370 die vaak opspeelt wanneer de ontwikkeling van een medicijn vervelend lang duurt.

0:06:31.370,0:06:35.490 Dus betrachten Ed en ik elke dag dat we hier op deze conferentie zijn een hoogtepunt te vinden. Het hoogtepunt

0:06:35.490,0:06:41.000 van vandaag was erg duidelijk en ik hoop dat iedereen het met me eens is dat het horen van niet

0:06:41.000,0:06:46.480 één, niet twee, niet drie, niet vier, maar vijf nieuwe klinische proeven die bezig zijn, of op het punt staan te beginnen,

0:06:46.480,0:06:50.809 zeker het hoogtepunt van de dag was.

0:06:50.809,0:06:53.650 ED: Ja, dus we zullen ze kort noemen voor iedereen die vandaag niet

0:06:53.650,0:06:56.800 bij die sessie was. De eerste proef die we willen noemen wordt ondersteund door Teva

0:06:56.800,0:07:02.120 Pharmaceuticals, en het gaat om een medicijn genaamd pridopidine, ook wel bekend als Huntexil, en voor

0:07:02.120,0:07:05.840 diegenen met een goed geheugen, eerder bekend als ACR16.

0:07:05.840,0:07:10.400 Dit is een medicijn dat al getest is in twee klinische proeven: de HART studie en

0:07:10.400,0:07:15.610 de MermaiHD studie. In elk van deze proeven kwam de suggestie naar voren dat het medicijn zou kunnen helpen

0:07:15.610,0:07:19.060 bij de bewegingsproblemen die ZvH patiënten ervaren.

0:07:19.060,0:07:23.870 Echter, deze proeven waren op zichzelf staand niet afdoende om het nieuwe medicijn erkend te krijgen.

0:07:23.870,0:07:30.699 Dus de Pride-HD studie, waarvoor de inschrijvingen al gestart zijn en die in een hoog tempo overal

0:07:30.699,0:07:36.290 ter wereld plaatsvindt, zal een groter aantal deelnemers omvatten en hogere doses

0:07:36.290,0:07:43.290 van het medicijn, om te bepalen of dit medicijn een rol kan spelen in de bewegingsproblemen

0:07:44.010,0:07:45.320 van mensen met de ZvH.

0:07:45.320,0:07:51.050 JEFF: Ralf Reilmann was bij ons om te praten over een andere nieuwe proef, ook in samenwerking

0:07:51.050,0:07:55.710 met Teva Pharmaceuticals, ontworpen om te testen of het medicijn genaamd Laquinimod

0:07:55.710,0:07:58.810 nuttig kan zijn in de ZvH. Dit medicijn is al getest

0:07:58.810,0:08:03.669 bij patiënten met multiple sclerose, dus we weten al meer over de veiligheid van het medicijn en

0:08:03.669,0:08:07.540 de mogelijke ongunstige effecten die hadden kunnen optreden maar die gelukkig uitbleven tijdens

0:08:07.540,0:08:11.570 de proeven. Dus dat is erg goed nieuws waardoor we snel kunnen starten met proeven voor de ZvH.

0:08:11.570,0:08:18.570 Deze proef is nog niet van start gegaan, maar dat zal snel gebeuren. Dit medicijn is ontworpen

0:08:19.070,0:08:23.620 om een proces genaamd 'ontsteking' te blokkeren. Dit is een soort zelfverdedigingssysteem van het lichaam

0:08:23.620,0:08:27.500 – en we weten dat dit verdedigingssysteem actief is in de hersenen van ZvH

0:08:27.500,0:08:31.229 patiënten; dat hebben we gezien – en de vraag is of dit medicijn dat proces kan

0:08:31.229,0:08:34.570 indammen en op die manier de symptomen van de ZvH kan verbeteren. Dat weten we nu nog

0:08:34.570,0:08:37.110 niet, maar zullen we wel snel weten, met dank aan de studie die Legato-HD wordt genoemd.

0:08:37.110,0:08:43.789 ED: De derde studie die we willen noemen was een proef met diepe hersenstimulatie, ook wel

0:08:43.789,0:08:48.350 DBS genoemd. Hierbij worden er kleine gaatjes in de schedels van mensen geboord.

0:08:48.350,0:08:49.190 JEFF: Hele kleine maar.

0:08:49.190,0:08:55.649 ED: Hele minuscule gaatjes in het hoofd, en dan worden er hele kleine elektroden zorgvuldig in de hersenen geplaatst

0:08:55.649,0:09:00.960 die hele kleine hoeveelheden elektriciteit afleveren in de hersenen.

0:09:00.960,0:09:01.210 [Gelach]

0:09:00.980,0:09:03.139 JEFF: Het klinkt allemaal erg veilig.

0:09:03.139,0:09:07.810 ED: Het is veilig, en dat weten we omdat het eigenlijk al redelijk vaak gebruikt wordt

0:09:07.810,0:09:13.020 bij de ziekte van Parkinson, een andere bewegingsstoornis die degeneratie

0:09:13.020,0:09:18.690 van de hersenen en bewegingsproblemen veroorzaakt. Deze behandeling wordt ook steeds meer en meer

0:09:18.690,0:09:25.690 toegepast in andere ziektegebieden. Een proef die wordt gesponsord door Euro ZvH, een proef

0:09:26.510,0:09:31.080 op kleine schaal, heeft al veel potentieel laten zien voor behandeling van bewegingsproblemen die

0:09:31.080,0:09:35.960 voorkomen bij de ZvH, in het bijzonder voor de chorea, de onwillekeurige bewegingen.

0:09:35.960,0:09:42.960 Nogmaals, bewijzen dat een grote proef zoals deze veilig is, is een grote taak, dus

0:09:44.850,0:09:49.450 het was heugelijk nieuws om te horen over de progressie van deze multicenter DBS proef

0:09:49.450,0:09:55.089 – ook gesponsord door Euro ZvH – die erop gericht is om op deze vraag een definitief antwoord te geven

0:09:55.089,0:09:58.700 en om, hopelijk, een idee te geven welke patiënten waarschijnlijk het meeste voordeel ervaren

0:09:58.700,0:09:59.950 van deze behandeling.

0:09:59.950,0:10:05.220 JEFF: Cristina Sampaio, het klinische hoofd van de CHDI stichting, is bij ons

0:10:05.220,0:10:12.220 om te praten over niet één maar meerdere proeven die gepland staan of al zijn gestart, om medicijnen te testen die een kleine

0:10:12.529,0:10:16.860 hersenmachine genaamd phosphodiesterase 10, of PDE10 blokkeren.

0:10:16.860,0:10:21.390 De details zijn een beetje gecompliceerd, zelfs voor neurowetenschappers, maar het netto effect van deze medicijnen –

0:10:21.390,0:10:26.110 ten minste in muizen, omdat er daar in detail naar gekeken is – is dat de communicatie tussen hersencellen,

0:10:26.110,0:10:29.060 die zoals we weten afbreken in de hersenen van mensen met de ZvH,

0:10:29.060,0:10:35.190 geholpen lijkt te zijn. Er zijn twee farmaceutische bedrijven, Omeros

0:10:35.190,0:10:40.950 en Pfizer, die het medicijn hebben dat deze PDE10 machine blokkeert en dat getest zal worden in patiënten

0:10:40.950,0:10:45.180 met de ZvH om te kijken of dit gunstig is, dus niet één maar meerdere proeven staan op het punt om

0:10:45.180,0:10:49.510 te starten, of zijn al bezig, om de PDE 10 remmers te testen in ZvH patiënten.

0:10:49.510,0:10:54.020 ED: De laatste proef die we willen noemen wilden we eigenlijk het onderwerp maken van

0:10:54.020,0:11:00.560 een bijzonder interview, omdat ik denk dat het een proef is waar lang op is gewacht en daadwerkelijk

0:11:00.560,0:11:04.320 afrekenen met de ZvH – het is in ieder geval de bedoeling om af te rekenen met de ZvH -

0:11:04.320,0:11:08.410 op een zeer fundamentele manier, omdat het zich richt op het behandelen van de bekende oorzaak van het probleem:

0:11:08.410,0:11:11.630 het ZvH gen en het mutante eiwit.

0:11:11.630,0:11:16.770 Ik treed niet teveel in details, want ik wil dat de persoon die we gaan interviewen

0:11:16.770,0:11:21.510 dat doet. De techniek staat bekend als 'huntingtine verlaging', en er wordt ook naar verwezen als 'gen

0:11:21.510,0:11:25.140 uitschakeling', maar we geven de voorkeur aan 'huntingtine verlaging' omdat het een

0:11:25.140,0:11:29.610 meer accurate benaming is. Zij is mijn baas, dus ik houd volledig mijn mond.

0:11:29.610,0:11:30.440 JEFF: Ja, dat klopt.

0:11:30.440,0:11:32.500 ED: Als je je zoiets kunt voorstellen. [Gelach]

0:11:32.500,0:11:37.810 ED: Het lijkt misschien alsof mijn hoofd ontploft of dat mijn oren teuten omdat ik graag wat wil zeggen maar ik zal proberen

0:11:37.810,0:11:43.040 dat niet te doen. Een hartelijk welkom voor mijn baas en ZvH onderzoeker van University College

0:11:43.040,0:11:50.040 Londen, Professor Sarah Tabrizi. [Applaus]

0:11:51.420,0:11:57.520 SARAH: Ik denk dat ik moet beginnen met zeggen dat niemand jouw baas kan zijn, Ed.

0:11:57.520,0:12:01.350 [Gelach] SARAH: Jij bent 'onbaasbaar', maar op een positieve

0:12:01.350,0:12:02.860 manier.

0:12:02.860,0:12:08.660 JEFF: Dankje, Sarah. Dit is super geweldig nieuws, maar we hebben nog geen details gedeeld

0:12:08.660,0:12:12.310 met de mensen thuis. Dus wat houdt deze proef in, deze eerste proef met huntingtine verlaging, wat

0:12:12.310,0:12:13.700 zou het moeten doen?

0:12:13.700,0:12:20.700 SARAH: Dit is het eerste in-human onderzoek van een molecuul- of medicijntherapie die probeert om

0:12:23.600,0:12:30.600 huntingtine te verlagen. Het is een molecuul dat lijkt op DNA en zich verbindt aan de huntingtine boodschapper

0:12:33.670,0:12:36.079 om het huntingtine eiwit te verlagen.

0:12:36.079,0:12:40.370 JEFF: Oké, dus we hebben het huntingtine gen dat iedereen heeft, en degenen met een mutatie daarvan zullen

0:12:40.370,0:12:44.180 de ZvH ontwikkelen, dan is er de tussentijdse boodschapper, en dan is er nog het

0:12:44.180,0:12:50.060 huntingtine eiwit, waarvan we denken dat het de slechterik is. Dit medicijn blokkeert die middelste

0:12:50.060,0:12:51.810 stap, de boodschap.

0:12:51.810,0:12:52.060 SARAH: Dat doet het inderdaad.

0:12:51.810,0:12:54.920 JEFF: Oké, hoe worden deze medicijnen genoemd, en wat voor type medicijn is het?

0:12:54.920,0:12:57.089 SARAH: Het is een antisense oligonucleotide.

0:12:57.089,0:12:58.399 JEFF: Antisense oligonucleotide.

0:12:58.399,0:13:02.730 SARAH: ASO, en de naam van het medicijn is ASO Huntingtine Rx.

0:13:02.730,0:13:05.010 JEFF: Pittig. [Gelach]

0:13:05.010,0:13:10.040 SARAH: Eén van de redenen waarom we dit met jullie willen delen is omdat, in tegenstelling tot sommige van de

0:13:10.040,0:13:14.140 andere medicijnen die worden getest - die traditionele moleculen zijn die je als een pil

0:13:14.140,0:13:19.820 kunt innemen – weten degenen die deze dingen bestuderen dat ASOs, als lange DNA molecules, wat moeilijker

0:13:19.820,0:13:23.370 af te leveren zijn op de plaats waar ze horen te zijn. Dus wat is het plan met betrekking tot de toediening?

0:13:23.370,0:13:29.040 SARAH: Dit medicijn gaat toegediend worden via lumbaalpuncties. Dit is wat we noemen

0:13:29.040,0:13:35.050 'intrathecale' toediening, en het is een lumbaalpunctie in het lagere ruggenmerg.

0:13:35.050,0:13:37.949 JEFF: Dat klinkt als iets groots.

0:13:37.949,0:13:41.779 SARAH: Eigenlijk is het niet in het lagere ruggenmerg; het is in de lagere lumbale

0:13:41.779,0:13:42.279 regio.

0:13:42.279,0:13:43.500 JEFF: Waar er ruimte is voor vloeistof.

0:13:43.500,0:13:46.459 SARAH: Waar het lumbale ruggenmerg eindigt, en waar er vloeistofruimte is inderdaad.

0:13:46.459,0:13:49.649 JEFF: Oké, maar zelfs als er zich geen ruggenmerg bevindt, dan lijkt het alsnog iets

0:13:49.649,0:13:53.220 heel groots. Is dit een routine procedure of moeten we ons zorgen gaan maken?

0:13:53.220,0:14:00.220 SARAH: Dit is een algemeen gebruikte techniek in oncologie – bij kankerbestrijding – dus al meer dan twintig

0:14:01.740,0:14:08.740 jaar worden er medicijnen toegediend via lumbaalpuncties, wat 'intrathecaal' wordt

0:14:08.860,0:14:15.860 genoemd, bij de behandeling van kanker. In oncologie is intrathecale toediening normaal en er bestaan

0:14:16.800,0:14:23.420 al vele jaren vastgestelde richtlijnen voor intrathecale toediening van stoffen.

0:14:23.420,0:14:28.850 Het wordt ook algemeen gebruikt, en velen van jullie die kinderen hebben gekregen, hebben een ruggenprik gehad.

0:14:28.850,0:14:35.850 En een ruggenprik is een toediening van een verdoving in de lumbale regio om het gebied te verdoven.

0:14:36.839,0:14:42.950 Bij verdovingen, bij pijnverlichting, in vele andere neurologische ziekten, en in oncologie,

0:14:42.950,0:14:47.890 is het een heel normale manier van toediening, dus er is al vele jaren ervaring met deze manier

0:14:47.890,0:14:48.500 van toediening.

0:14:48.500,0:14:53.149 JEFF: Dus, bevallingen, of kanker, of andere soortgelijke ziekten?

0:14:53.149,0:14:58.279 [Gelach] ED: Jij zit in diepe problemen met je

0:14:58.279,0:14:58.660 vrouw.

0:14:58.660,0:15:03.660 JEFF: Ik ben niet de arts in dit team, dus ik gok maar wat.

0:15:03.660,0:15:08.200 Je krijgt een tumor, je probeert beter te worden; je krijgt een baby, dan stop je, hopelijk. Hoe zit het met

0:15:08.200,0:15:11.519 de ZvH als een chronische ziekte, gaan we elke dag lumbale puncties

0:15:11.519,0:15:12.670 zien? Wat gaat er gebeuren?

0:15:12.670,0:15:18.690 SARAH: Dat is een goede vraag. De manier waarop ASO werkt, is dat het vier maanden

0:15:18.690,0:15:25.060 duurt. Het begin van het verlagen van huntingtine duurt ongeveer vier tot zes weken, en duurt dan ongeveer

0:15:25.060,0:15:29.839 vier maanden, en op dit moment geschiedt de toediening maandelijks. Het is een eenmalige

0:15:29.839,0:15:36.839 toediening in maandelijks intervallen en het is vooral gericht op het kijken naar veiligheid. De tussenpoos

0:15:37.360,0:15:42.240 is nu eens per maand en het kan zijn dat dit nog veranderd, maar het is

0:15:42.240,0:15:43.850 een zeldzame dosering.

0:15:43.850,0:15:46.150 JEFF: Klopt, het is niet constant.

0:15:46.150,0:15:47.260 SARAH: Niet elke dag.

0:15:47.260,0:15:52.529 JEFF: Je zei, "Dit is in eerste instantie een veiligheidsproef." Dat is overduidelijk belangrijk,

0:15:52.529,0:15:56.610 met iets dat zo experimenteel is, maar wat zou de volgende stap zijn als deze eerste

0:15:56.610,0:15:57.869 proef succesvol is?

0:15:57.869,0:16:03.779 SARAH: Ik wil benadrukken, want dat is belangrijk, dat deze proef om veiligheid draait. Het is

0:16:03.779,0:16:10.779 het eerste in-human veiligheidsonderzoek en er worden veel verschillende stappen gezet om er zeker van te zijn dat dit een

0:16:11.050,0:16:14.510 veilig onderzoek is, en we kijken naar veiligheid en tolerantie.

0:16:14.510,0:16:21.510 We gaan kijken naar potentiële maatregelen of eindpunten, en we weten van diermodel

0:16:22.529,0:16:29.110 onderzoek dat het voor een tijdje uitschakelen of verlagen van huntingtine erg

0:16:29.110,0:16:36.110 bevorderend is. Dus, als we kunnen aantonen dat dit onderzoek veilig is en getolereerd wordt, dan is de volgende stap

0:16:37.820,0:16:44.820 het ingaan van fase 2 en daarna naar fase 3, wat inhoudt dat we gaan kijken

0:16:45.380,0:16:48.540 naar hoe effectief dit medicijn is bij het behandelen van de ZvH.

0:16:48.540,0:16:55.540 Dan, als we weten of het werkt, als het fase 2 en fase 3 bereikt

0:16:57.810,0:17:03.279 in de toekomst, kan het zo zijn dat we de mogelijkheid hebben om

0:17:03.279,0:17:05.150 het aan mensen te geven die gendrager zijn maar die helemaal gezond zijn.

0:17:05.150,0:17:07.539 JEFF: Proberen om ziekten te voorkomen.

0:17:07.539,0:17:14.539 SARAH: Dit is het begin van een pad langs die weg. De studie Roche werkt samen met

0:17:15.039,0:17:22.039 Isis om het naar het hogere niveau van fase 2 en fase 3 te tillen, als het veelbelovend is, veilig

0:17:22.520,0:17:23.680 en getolereerd.

0:17:23.680,0:17:26.199 JEFF: Dat is geweldig. Dankjewel, Sarah, dat je bij ons was.

0:17:26.199,0:17:33.199 [Applaus] ED: Ik bleef bijna stil. Als je meer wilt

0:17:42.290,0:17:47.910 weten over huntingtine verlaging of huntingtine genuitschakeling, we hebben hier heel

0:17:47.910,0:17:52.080 veel artikelen over geschreven omdat we een tijdje dachten dat dat cool was. Het beste is om

0:17:52.080,0:17:58.150 te beginnen met artikel 23 op de HDBuzz website, dus kijk daar naar als je geïnteresseerd bent.

0:17:58.150,0:18:05.020 We zijn bijna klaar, maar we hebben gezegd dat dit de tiende verjaardag is van het Euro ZvH

0:18:05.020,0:18:10.280 Netwerk en de mensen die thuis kijken weten niet dat Bernard Landwehrmeyer,

0:18:10.280,0:18:17.030 Professor Landwehrmeyer, gewaardeerde senior neuroloog en zeer gerespecteerd arts en ZvH onderzoeker,

0:18:17.030,0:18:20.960 aftreedt als hoofd van het Euro ZvH Netwerk, na tien jaar.

0:18:20.960,0:18:25.440 Het Netwerk was zijn idee, en hij is de drijvende kracht geweest achter dit opmerkelijke netwerk

0:18:25.440,0:18:30.360 voor de afgelopen tien jaar, dus willen onze eigen persoonlijke Eurobuzz/HD Buzz/Jeff en

0:18:30.360,0:18:36.330 Ed eerbetoon aan Bernard geven – op de enige manier waarop we weten hoe, namelijk door schaamte.

0:18:36.330,0:18:38.480 [Gelach] ED: Heet hem een hartelijk welkom, Professor

0:18:38.480,0:18:45.480 Bernard Landwehrmeyer. [Applaus en gelach]

0:18:47.390,0:18:54.390 ED: Dus, Bernie – je vindt het vast niet erg dat ik je Bernie noem – ik wil je nu een

0:18:56.440,0:18:57.240 grote knuffel geven.

0:18:57.240,0:18:59.019 BERNHARD: Ah, dat is lief.

0:18:59.019,0:19:04.220 ED: Omdat ik heel veel van je houd en omdat ik je straks niet meer wil knuffelen.

0:19:04.220,0:19:09.650 [Gelach] ED: Ja, we hebben de tijd. In 2006 werd ik gebeld

0:19:09.650,0:19:14.750 op mijn mobiel door een onbekend nummer uit Duitsland, en een man zei, “Mijn naam

0:19:14.750,0:19:19.440 is Bernhard Landwehrmeyer en ik wil je uitnodigen voor een workshop over biomarkers voor

0:19:19.440,0:19:21.620 de ZvH.” Ik denk dat het de tweede week van

0:19:21.620,0:19:25.750 – nee, het was in 2005 – de tweede week van mijn baan en ik zei, “Dat klinkt goed. Ik heb zin om

0:19:25.750,0:19:32.590 naar Parijs te gaan, maar ik weet niet wie u bent.” Dat is het verhaal van mijn wetenschappelijke carrière.

0:19:32.590,0:19:35.660 [Gelach] ED: Dus ik belde Sarah Tabrizi op en zei,

0:19:35.660,0:19:42.660 "Een man genaamd Bernhard belde me net en vroeg of ik met hem naar Parijs wilde. Denk je dat

0:19:42.799,0:19:45.679 ik dat moet doen?" [Gelach]

0:19:45.679,0:19:48.830 ED: Ze zei, "Dat is Professor Landwehrmeyer. Hij staat hoog in aanzien en is heel belangrijk,

0:19:48.830,0:19:50.770 natuurlijk moet je gaan..." Oh, ik doe het stemmetje.

0:19:50.770,0:19:57.770 [Gelach en applaus] ED: "Natuurlijk moet je gaan."

0:19:59.640,0:20:02.740 Hoe dan ook, dat was het begin van een mooie vriendschap, die op het punt staat te eindigen.

0:20:02.740,0:20:06.790 [Gelach] ED: Bernhard, ik wil je vragen of je

0:20:06.790,0:20:11.169 bekend bent met de zin 'Ice Bucket Challenge'.

0:20:11.169,0:20:14.200 [Gelach] ED: We laten Bernhard niet de

0:20:14.200,0:20:17.000 Ice Bucket Challenge doen; het wordt veel erger dan dat.

0:20:17.000,0:20:17.390 [Gelach]

0:20:17.390,0:20:22.240 Laat me jullie een video zien en dan zul je zien waar ik het over heb. Daar gaan we.

0:20:22.240,0:20:27.669 Ik vergeet het Bernard plaatje. Oké, de Ice Bucket Challenge dus, dit is Donatella

0:20:27.669,0:20:32.160 Versace die de Ice Bucket Challenge doet om bewustzijn te creëren voor ALS, of motorneuron

0:20:32.160,0:20:32.420 ziekte.

0:20:32.420,0:20:33.820 JEFF: Waarom heb je deze video uitgekozen, Ed? [Gelach]

0:20:33.820,0:20:38.850 ED: Ik weet het niet; het is gewoon de eerste die me te binnen schiet. Daar gaan we. Mensen

0:20:38.850,0:20:41.530 krijgen een emmer water over hun hoofd gegooid, en dat creëert bewustzijn en haalt fondsen op, en het is

0:20:41.530,0:20:46.070 heel succesvol geweest. Er is een beweging in de ZvH gemeenschap die,

0:20:46.070,0:20:50.169 zoals sommigen weten, de 'Taart in het gezicht Challenge' wordt genoemd.

0:20:50.169,0:20:54.070 [Gelach] ED: Juich als je de 'Taart in het gezicht Challenge'

0:20:54.070,0:20:56.390 hebt gedaan. [Gejuich]

0:20:56.390,0:21:00.289 ED: Yeah. Het begon in Amerika en het wordt steeds populairder.

0:21:00.289,0:21:04.500 De ZvH Jongeren Organisatie doet dit op Facebook en wij willen niet achterblijven.

0:21:04.500,0:21:09.280 Dit is Matt Ellison die, om de één of andere reden, twee taarten in zijn gezicht krijgt.

0:21:09.280,0:21:15.740 JEFF: Van, het moet gezegd worden, zijn kersverse vrouw. Ik weet niet wat dat betekent.

0:21:15.740,0:21:17.710 [Gelach] ED: Kijk, dat is wat er gebeurt

0:21:17.710,0:21:24.710 en hashtag 'pieinthefaceforHD' is hoe je het kan vinden op internet.

0:21:24.840,0:21:31.840 Ik ga je niet vragen of je dit wil doen, maar ik instrueer je om hier te staan terwijl

0:21:32.500,0:21:36.280 mijn handlanger, Dokter Yury Seliverstov uit Moscow, het 'Barcelona Feit van de dag'

0:21:36.280,0:21:38.020 presenteert. [Gelach]

0:21:38.020,0:21:45.020 ED: Dit is de beste Crema Catalana van het Hesperia Hotel, wat ongeveer het meest lijkt

0:21:46.960,0:21:52.799 op een taart in deze regio. Je krijgt de keuze; we gaan de microfoon bij je weghalen en dan mag je kiezen

0:21:52.799,0:21:59.799 of je een handdoek over je schouders wil of niet.

0:21:59.820,0:22:03.280 [Gelach] ED: Ik geef de eer aan mijn gewaardeerde

0:22:03.280,0:22:06.480 vriend en collega, Dokter Jeffrey Carroll.

0:22:06.480,0:22:07.649 JEFF: Ik?

0:22:07.649,0:22:09.419 ED: Ja [Gelach]

0:22:09.419,0:22:12.720 JEFF: Wacht even; dit gaat leuk worden.

0:22:12.720,0:22:15.660 ED: Omdat het voor mij nog wel mogelijk moet zijn om in Europa te werken hierna.

0:22:15.660,0:22:18.630 [Gelach] ED: Ik doe een stap naar beneden. We brengen waarschijnlijk

0:22:18.630,0:22:22.350 de levens van de flamenco dansers in gevaar die hierna komen.

0:22:22.350,0:22:24.830 JEFF: Er is geen gracieuze manier om dit te doen, Bernard.

0:22:24.830,0:22:29.330 ED: Ja, dat is de bedoeling. Je zou wellicht... Als je dit wil filmen, kom dan
0:22:29.330,0:22:31.080 naar voren met jullie smartphones.

0:22:31.080,0:22:36.440 JEFF: Daar gaan we. Ik denk dat de enige manier om... Wacht, wacht, wacht!

0:22:36.440,0:22:43.440 ED: Wacht, wacht, wacht, wacht; nog niet, nog niet, nog niet, nog niet, nog niet.

0:22:45.950,0:22:50.830 JEFF: Wil iemand dit filmen?

0:22:50.830,0:22:52.230 ED: [Applaus]

0:22:52.230,0:22:59.230 ED: Blijf klappen, blijf klappen en we gaan aftellen. Zijn we er klaar voor?

0:23:01.289,0:23:06.179 JEFF: Wat? Ga je aftellen?

0:23:06.179,0:23:13.179 ED: Tien, negen, acht, zeven, zes, vijf, vier, drie, twee, een, taart in het gezicht!

0:23:15.890,0:23:19.650 [Gelach en applaus] JEFF: Geef die man een handdoek.

0:23:19.650,0:23:26.250 ED: Kom hier. Mm, dit is lekker; ik raad het aan. Nu denkt Jeff dat we klaar
0:23:26.250,0:23:27.530 zijn.

0:23:27.530,0:23:32.260 ED: Nu denkt Jeff dat we klaar zijn, maar ik heb de challenge gedaan, en Bernard heeft
0:23:32.260,0:23:35.090 de challenge gedaan, maar er iemand anders op het podium die de challenge nog niet gedaan heeft

0:23:35.090,0:23:40.919 – en Yuri heeft een extra taart meegebracht en jij hebt je jas al uitgedaan. Mag ik je
0:23:40.919,0:23:43.830 vragen om je microfoon af doen?

0:23:43.830,0:23:45.710 JEFF: Nee, ik denk niet dat ik dat doe; ik denk dat ik die om houd.

0:23:45.710,0:23:48.250 ED: Goed, dan moet je betalen voor de microfoon want dit is niet optioneel.

0:23:48.250,0:23:48.720 JEFF: Oh, God.

0:23:48.720,0:23:50.630 ED: Wil jij het doen, Bernhard?

0:23:50.630,0:23:51.590 BERNHARD: Doe jij maar.

0:23:51.590,0:23:55.160 ED: Ik doe het – dit is iets wat ik al heel lang wil doen. Ben je er klaar voor?

0:23:55.160,0:23:55.770 JEFF: Nee.

0:23:55.770,0:24:02.770 ED: Ik denk dat we nog een keer moeten aftellen: tien, negen, acht, zeven, zes, vijf, vier,

0:24:03.390,0:24:10.390 drie, twee, een, taart in het gezicht! [Gelach en applaus]

0:24:12.400,0:24:19.400 ED: Mm, het is echt heel lekker.

0:24:26.580,0:24:31.279 JEFF: Dit deed je met meer enthousiasme dan dat ik net deed.

0:24:31.279,0:24:35.700 ED: Dat, dames en heren, is hoe ZvH onderzoek werkt.

0:24:35.700,0:24:40.880 [Gelach] ED: Ik denk dat we klaar zijn.

0:24:40.880,0:24:46.030 We zullen helpen met het schoonmaken van het podium. We wensen jullie een hele fijne avond. Wij waren Jeff en

0:24:46.030,0:24:50.480 Ed. We houden van Professor Landwehrmeyer, we houden van Euro ZvH, en dank jullie wel. Goedenavond.

0:24:50.480,0:24:50.730 [Applaus]

[/subtitle]

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

GLOSSARIUM

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

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

chorea onvrijwillige, onregelmatige 'ongedurige' bewegingen die veel voorkomen bij 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 2011-2018. 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 23 juli 2018 – Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/179>

Sommige tekst op deze pagina is nog niet vertaald. Het is hieronder weergegeven in de oorspronkelijke taal. We zijn bezig om alle inhoud zo snel mogelijk te vertalen.