

Ziekte van Huntington Therapeutische Conferentie 2015: Dag 3

Dag 3 met updates van de jaarlijkse ZvH Therapeutische Conferentie in Palm Springs



Geschreven door Dr Jeff Carroll

27 maart 2017

Bewerkt door Dr Ed Wild

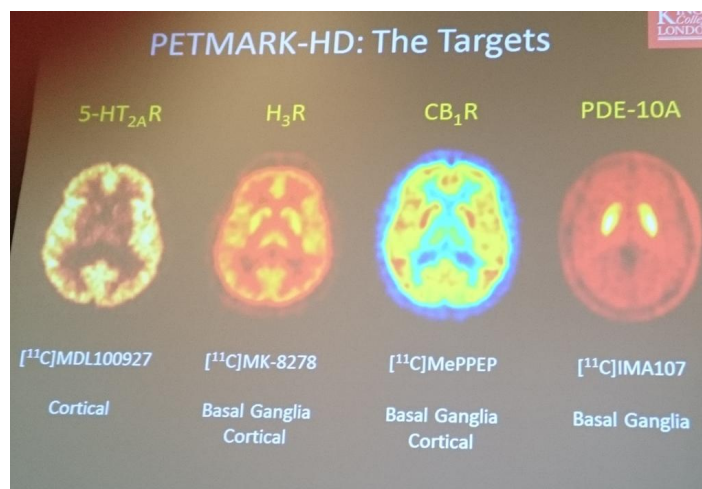
Vertaald door Lieke Klein Haar

Origineel gepubliceerd op 3 maart 2015

Ons laatste verslag van de jaarlijkse Ziekte van Huntington Therapeutische Conferentie.

Donderdag ochtend: Lessen uit klinisch onderzoek

09:06 – De sessie's van vanochtend richten zich met name op de bevindingen bij mensen met de ZvH, in plaats van op bevindingen bij diermodellen of cellen. Belangrijke dingen!



Marios Politis kondigt PETMARK-HD aan, een studie die verscheidene moleculaire scan methoden voor de eerste keer in de ZvH vergelijkt.

09:09 – Gil Di Paolo is geïnteresseerd in wat wetenschappers “lipiden”, en veel andere mensen “vetten”, noemen in de hersenen. Onze hersenen bestaan voor ongeveer 60 procent uit vet.

09:11 – Hersenvetten komen voor in veel verschillende soorten en maten. Sommigen overvloedig, anderen zeldzaam. Zelfs zeldzame vetsoorten spelen belangrijke rollen in de hersenen.

09:13 – Di Paolo herinnert het publiek eraan dat de huntingtine eiwitten graag aan de “membranen” blijven plakken, de vette wanden die de celgrenzen vormen.

09:13 – Ook wordt de productie van vetten vertraagd in het ZvH brein, wat kan resulteren in veranderingen in de niveaus van verschillende vetten in de hersenen.

09:15 – Di Paolo's laboratorium is gespecialiseerd in "lipidomics", of de nauwkeurige meting van honderden (zelfs duizenden!) verschillende vetmoleculen.

09:16 – Di Paolo werkt met ZvH hersenen om te kijken of het waar is dat er een afname in de aantallen van de belangrijke vetten plaatsvindt.

09:18 – Di Paolo bestudeert ook de vet moleculen in het bloed van de ZvH mutatie dragers van de TRACK-HD studie.

09:24 – Elk weefsel heeft een eigen vet handtekening – het brein verschilt erg van het bloed in termen van welke vetten aanwezig zijn.

09:28 – Di Paolo observeert een aantal heel specifieke vet veranderingen in het bloed van mensen die de ZvH mutatie dragen.

09:30 – Deze veranderingen zijn anders dan de veranderingen die gezien worden bij de ziekte van Parkinson. Dit suggereert dat er iets specifiek aan de hand is.

09:36 – Di Paolo heeft deze resultaten al sinds 5 dagen, dus houdt deze ruimte in de gaten voor een meer gedetailleerde analyse van deze spannende nieuwsresultaten.

09:40 - **Disclaimer:** De volgende gast is iemand genaamd Dr Ed Wild, dus let op! Onze objectiviteit kan enigszins worden aangetast!

09:49 – Wild werkt aan het isoleren van het cerebrospinale vloeistof van ZvH mutatie dragers; een belangrijke manier om te zien wat er gebeurt in de hersenen.

09:53 – Waarom is ruggenmergvocht belangrijk? We willen leren over de hersenen, maar we kunnen niet veilig een monster nemen van hersenweefsel. Een monster nemen van ruggenmergvocht is veel veiliger.

09:56 – Andere ziekten, zoals Alzheimer, hebben goed gekarakteriseerde ruggenmergvloeistofmarkers om de progressie van de ziekte te volgen, maar de ZvH niet.

09:58 – Wild heeft een eigenaardige machine die minuscule hoeveelheden van het huntingtine eiwit in het ruggenmergvocht meet.

10:00 – Interessant genoeg lijkt de hoeveelheid huntingtine eiwit in het ruggenmergvocht toe te nemen met de progressie van de ZvH, en correleert het met de ZvH symptomen.

10:02 – Het ruggenmergvocht lijkt speciaal – bloedspiegels van het huntingtine eiwit laten niet dezelfde interessante patronen zien.

10:06 – Wild gebruikt ook ruggenmergvocht om andere ideeën te onderzoeken die wetenschappers hebben aangedragen, bijvoorbeeld het meten van niveaus van verschillende chemicaliën in het ruggenmergvocht.

10:10 – Wild's ruggenmergvocht collectie is een belangrijke bron in het bieden van inzicht in de ZvH hersenen.

10:12 – Wild is ook geïnteresseerd in de stroom van ruggenmergvocht door de hele hersenen – hij lanceert een MRI studie om dit te onderzoeken.

10:14 – Wild heeft ook de lancering van zijn 'HDClarity' consortium aangekondigd, die kwaliteitsvol ruggenmergvloeistof verzamelt bij een aantal centra over de hele wereld.

10:23 – Guillermo Cecchi, van IBM, richt de aandacht op de computationele technieken in de biologie en de geneeskunde die zijn team gebruikt.

10:24 – Hij bestudeert met name of computeranalyse van spraak kan worden gebruikt in de psychiatrie. Zou Siri uw therapeut kunnen vervangen?

10:49 – Het is gaaf om de volgende generatie computertechnologie te zien en hoe het wordt gebruikt om de ZvH beter te begrijpen.

11:23 – Diane Stephenson van het Critical Path Instituut richt zich op het publiek – haar organisatie werkt aan het versnellen van de ontwikkeling van therapieën.

11:25 – Het doel van de Critical Path Outcome is het samenbrengen van groepen die betrokken zijn bij de ontwikkeling van geneesmiddelen – bedrijven, patiënten en overheidsinstellingen.

11:29 – Ze proberen gaten in het ontwikkelingsproces op te vullen om zo het goedkeuringsproces van geneesmiddelen te versnellen.

11:30 – Een groot doel is om wetenschappers, bedrijven en andere belanghebbenden hun gegevens van klinische studies te laten delen.

“Er is veel opwinding rondom de toekomstige proef van Isis Pharmaceutical die gericht is op een gen uitschakelend medicijn. Maar we moeten goed onthouden dat de studie zich voornamelijk richt op veiligheid. ”

11:32 – Meer over het Critical Path Instituut vindt u hier: <http://c-path.org/>.

11:36 – Een groot probleem bij de ontwikkeling van geneesmiddelen is dat grote hoeveelheden patiënten- en geneesmiddelengegevens verspreid zijn over veel verschillende databases.

11:37 – De CPI houdt zich bezig met het ontwikkelen van technieken om al deze gegevens te standaardiseren en ze samen te voegen, zodat iedereen kan werken met standaard databases.

11:38 – Deze databases over effecten van geneesmiddelen en progressie van de ziekte kan farmaceutische bedrijven helpen om hun klinische studies beter te plannen in de toekomst.

11:40 – Met al deze verzamelde data is het mogelijk om daadwerkelijk een klinische studie te simuleren alvorens deze echt uit te voeren – er worden al 'wat als?' gesteld.

11:42 – Deze computersimulaties helpen mensen die studies plannen om deze van tevoren efficiënt te optimaliseren.

11:57 – Michal Geva van Teva Pharmaceuticals @tevapharm geeft ons een update over Teva's ZvH geneesmiddelenprogramma's.

11:57 – Als uitzonderlijke blijk van vertrouwen in de ZvH gemeenschap heeft Teva niet een maar twee geneesmiddelen in klinische studies voor de ZvH.

11:58 – Het eerste middel is pridopidine, ook bekend als Huntexil. Dit is gericht op het verbeteren van bewegingssymptomen in de ZvH, <http://en.hdbuzz.net/025>.

12:00 – Teva hoopt dat hun Pride-HD studie het nodige bewijs zal opleveren om Huntexil goed te keuren voor ZvH patiënten, <http://www.huntington-study-group.org/CurrentClinicalTrials/PrideHD/tabid/305/Default.aspx>.

12:02 – Dag twee met updates over het jaarlijkse ZvH Therapeutische Conferentie in Palm Springs, <http://en.hdbuzz.net/190>.

12:08 – Terwijl Pride-HD loopt, hebben Teva's wetenschappers interessante dingen laten zien over het middel...

12:08 - ... inclusief de hint dat het zou kunnen helpen bij de verbindingen tussen hersencellen.

12:15 – Teva heft ook ontdekt dat pridopidine de chemische stof BDNF, die hersencellen beschermt, zou kunnen verhogen.

12:17 – Teva's tweede middel is laquinimod dat ook getest wordt in een andere ZvH studie – LEGATO-HD. <http://www.huntington-study-group.org/CurrentClinicalTrials/LEGATOHD/tabid/317/Default.aspx>

12:28 – Laquinimod heeft als doel het gedrag van de immuuncellen van de hersenen te veranderen – genaamd microglia. Deze zijn overactief in de ZvH en kunnen schade aanrichten.

12:19 – Dus Teva hoopt dat het dempen van de activiteit van microglia de hersencellen kan helpen om te overleven in de ZvH, of zelfs de progressie te vertragen.

Donderdag middag: Updates van klinische studies

14:11 – Sarah Tabrizi en Sarah Gregory, van het UCL, vertellen op deze conferentie over de "TRACKOn-HD" studie.

14:12 – TRACKOn is ontworpen voor de follow-up van de bevindingen van de TRACK-HD observerende studie, die een aantal veranderingen in ZvH mutatie dragers heeft gevonden.

14:16 – Interessant is dat de TRACK-HD studie een aantal veranderingen in de beeldvorming van de hersenen heeft gevonden die niet geassocieerd werden met veranderingen in denkvermogen.

14:19 – Dus, hoe kunnen hersenen krimpen zonder dat het denkvermogen wordt aantast? Tabrizi is geïnteresseerd in hoe ZvH hersenen ‘compenseren’ tijdens de ZvH.

14:20 – Beeldvorming van de TRACKOn-HD studie wordt gebruikt om te begrijpen hoe de communicatie tussen hersengebieden wordt gewijzigd in de ZvH.

14:23 – Er lijkt veel minder communicatie te zijn tussen afgelegen hersengebieden, en meer korte afstand communicatie.

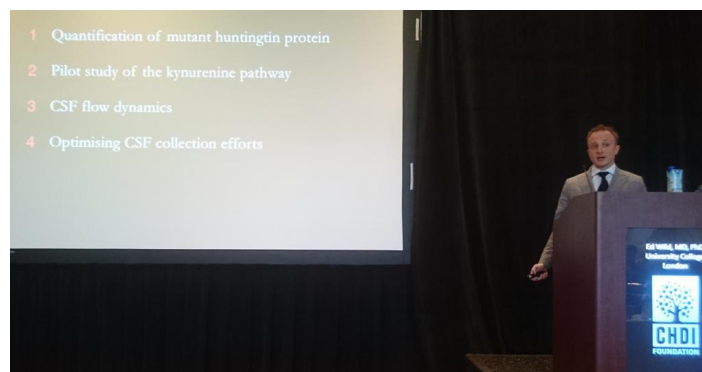
14:27 – Tabrizi’s team is geïnteresseerd in het ontwerpen van experimenten die het mogelijk maken om te bestuderen hoe hersenen met schade omgaan.

14:33 – Ze hebben patronen ontdekt in hersenactiviteit die hoger zijn in ZvH mutatie dragers, zij scoren beter op denk-taken.

14:35 – Dit suggereert dat hersenen het vermogen hebben om om te gaan met aanhoudende schade in de ZvH, ten minste bij sommige mensen.

14:36 – Maar kan deze informatie mensen met de ZvH helpen?

14:37 – Tabrizi is geïnteresseerd in de vraag of mensen getraind kunnen worden in het gebruik van deze compensatietechnieken.



Dr. Ed Wild van het UCL (en mede-oprichter van HDBuzz) vertelt over zijn werk met cerebrospinale vloeistof in de ZvH. Voor het eerst hebben Wild en collega's gemeten hoeveel van het mutante huntingtine eiwit aanwezig is in het ruggenmergvloeistof. Hopelijk helpt deze informatie bij aankomende 'gen uitschakeling' proeven.

14:38 – Haar team heeft “neurofeedback” onderzoek in ZvH patiënten gedaan, waarbij ze in een MRI geplaatst werden en getraind werden om hun hersenactiviteit aan te passen.

14:39 – Deze training leidde tot specifieke patronen van hersenactiviteit, en verbeterde prestaties van simpele bewegingstaken.

14:42 – Tabrizi suggereert dat dit soort neurofeedback onderzoek geen behandeling is voor de ZvH, maar meer een “fysiotherapie voor de hersenen”.

14:53 – Marios Politis van King’s College Londen gebruikt een hersenscantechniek genaamd PET scanning om ZvH hersenen te bestuderen.

14:54 – PET gebruikt chemische injecties genaamd ‘tracers’ om te kijken naar veranderingen in specifieke celtypen in de hersenen.

14:55 – Bijvoorbeeld, een bepaalde tracer laat veranderingen in cellen zien die het signaalmolecuul dopamine gebruiken, terwijl een andere de activering van immuun cellen laat zien.

15:08 - **Politis:** PET is een krachtig hulpmiddel, maar er zijn al zo veel verschillende methoden gebruikt in het verleden dat het lastig is om te weten wat er precies gaande is in de ZvH.

15:11 – Politis kondigt PETMARK-HD aan, een door het CHDI gesponsorde studie van PET beeldvorming dat als doel heeft het overwinnen van deze kwesties.

15:19 – Politis illustreert de verscheidene chemische hersensystemen waar naar gekeken wordt in PETMARK-HD, <http://t.co/mghXgruyAb>

15:23 – Politis gaat PET ook gebruiken om de overlappende hersennetwerken die betrokken zijn bij de ZvH te onderzoeken.

16:02 – Ray Dorsey van de Universiteit van Rochester en de Huntington Study Group geeft een overzicht van de eerdere klinische studies in de ZvH.

16:08 - **Dorsey:** 2014 was een opvallend jaar door het beëindigen van twee grote studies door een gebrek aan middelen, <http://hdbuzz.net/181> <http://en.hdbuzz.net/171>

16:09 – Desondanks werden dit jaar verscheidene nieuwe potentiële behandelingen veilig bevonden, en veel meer studies staan er gepland.

16:13 – De Huntington Study Group publiceert HD Insights waar regelmatig nieuwe updates van klinische studies in de ZvH verschijnen, <http://hdinsights.org>

16:17 – De volgende generatie studies, die kortelings van start zullen gaan, zijn gericht op geneesmiddelen die de bekende problemen van de ZvH aanvallen.

16:37 – Tot slot licht professor Bernhard Landwehrmeyer ons in over de aankomende klinische studies.

16:38 - **Landwehrmeyer:** we zijn nu geneesmiddelen aan het testen die speciaal voor de ZvH ontworpen zijn.

16:40 – Toekomstige studies zullen ook versterkt worden door het gebruik van biomarkers om meer inzicht te geven in wat werkt en wat niet.

16:44 – Er is veel opwinding rondom de toekomstige proef van Isis Pharmaceutical die gericht is op een huntingtine verlagend / gen uitschakelend medicijn.

16:44 – Maar we moeten goed onthouden dat de studie zich voornamelijk richt op veiligheid.

16:49 - **Landwehrmeyer:** mensen die niet meedoen met het eerste gedeelte van de gen uitschakeling studie missen de boot niet.

16:50 – Als het medicijn veilig blijkt te zijn zullen toekomstige studies groter worden, en dan zullen er ook nieuwe medicijnen zijn.

16:57 – De Amaryllis studie bestudeert een medicijn dat gericht is op het verbeteren van hersensignalen door het reduceren van de activiteit van een enzym genaamd PDE10A.

16:59 – Meer over de Amaryllis studie vindt u hier: <http://www.hdsa.org/research/clinical-trials-1/pfizer-pde10a-inhibitor.html>

01:04 – In Europa is er een studie naar diepe hersen stimulatie – door het geven van kleine elektrische schokjes aan de aangetaste hersengebieden – gepland in 2015.

01:05 – Hopelijk zal DBS voorzien in een extra behandeloptie voor bewegingsproblemen die niet reageren op huidige medicijnen.

01:08 – In conclusie: studies worden op dit moment uitgevoerd – alle ZvH familieleden moeten overwegen of ze mee willen doen aan deze studies zodat deze therapieën zo snel mogelijk getest kunnen worden!

Dr. Wild en Dr. Carroll hebben onderzoeksupport ontvangen van de conferentie-organisator, de CHDI Foundation. 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

klinisch onderzoek zeer zorgvuldig geplande experimenten, ontworpen om specifieke vragen te beantwoorden omtrent het effect van een medicijn op mensen

huntingtine eiwit eiwit dat geproduceerd wordt door het huntington-gen

microglia De immuuncellen van de hersenen.

dopamine Een signaalstof (neurotransmitter) betrokken bij bewegingscontrole, stemming en motivatie

BDNF breingerelateerde neurotrofe factor: een groeifactor die mogelijk in staat is om neuronen (hersencellen) te beschermen bij 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 28 juni 2018 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/191>

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.

