



Wetenschappelijk nieuws over de Ziekte van Huntington.

In eenvoudige taal. Geschreven door wetenschappers.

Voor de hele ZvH gemeenschap.

[Nieuws](#) [Glossarium](#) [Over HDBuzz](#)
[Over HDBuzz](#)

[Personen](#) [Veel Gestelde Vragen](#) [Legaal Sponsoring](#) [Delen](#) [Statistieken](#) [Onderwerpen](#) [Contact](#)

[Volg](#)

[Volg](#)

[Twitter](#) [Facebook](#) [RSS Feed](#) [E-mail](#)

[Zoeken in HDBuzz](#)


 

 [Nederlands](#)

[Nederlands](#) 

[čeština](#) [dansk](#) [Deutsch](#) [English](#) [español](#) [français](#) [italiano](#) [Nederlands](#) [norsk](#) [polski](#) [português](#) [svenska](#) [русский](#)  [中文](#) 

[Meer informatie.....](#)

 **Bent u op zoek naar ons logo?** U kunt ons logo downloaden en meer informatie over het gebruik van het logo verkrijgen op onze [deelpagina](#).

Een nieuwe manier van denken over proeven om de ziekte van Huntington te voorkomen

Medicijnen testen om begin ZvH te vertragen of te voorkomen? Nieuw onderzoek suggereert dat dit mogelijk is



Geschreven door [Dr Jeff Carroll](#) 28 januari 2018 Bewerkt door [Dr Ed Wild](#) Vertaald door [Vik Hendrickx](#) Origineel gepubliceerd op 27 oktober 2017

Nieuwe analyses van klinische data afkomstig van de TRACK-HD en COHORT studies stellen een methode voor om te meten of een klinische studie het begin van de ziekte vertraagt voordat symptomen optreden.

Wat is de geschiedenis van klinische studies in de ZvH?

Klinische proeven zijn experimenten waarbij wordt onderzocht of een nieuwe behandeling de voortgang of de ernst van de ZvH kan beïnvloeden. De ZvH-gemeenschap heeft met succes meerdere klinische proeven uitgevoerd in de afgelopen 20 jaar (bijna honderd!) – zodoende werden enkele medicijnen geïdentificeerd die de symptomen van de ZvH verbeterden (tetrabenazine en deutetabenazine), maar geen enkel medicijn werd gevonden waardoor het ontstaan van de ziekte werd voorkomen of vertraagd. Tot op heden hadden bijna alle proeven met geneesmiddelen als doel het ziekteproces te vertragen bij mensen die al symptomen van de ZvH vertoonden. Slechts een klein aantal onderzoeken hadden tot doel bij mutatie dragers zonder symptomen het begin van de ZvH te vertragen of te voorkomen.

Wat is een eindpunt?

Om te begrijpen wat dit nieuwe document ons leert en waarom het moeilijk is om preventiestudies uit te voeren, moeten we nadenken over iets dat een **eindpunt** wordt genoemd. Een eindpunt, in een klinische proef, is de uitkomst die we proberen te

bestuderen. Voor veel ZvH-onderzoeken die gericht zijn op bewegingssymptomen, is het eindpunt een score die deze symptomen bij een persoon beschrijft. Andere eindpunten kunnen andere dingen benadrukken, bijvoorbeeld depressie in een medicijn tegen stemming symptomen, of algemeen functioneren in een medicijn dat gericht is tegen het vertragen van de ziekteprogressie. Wil een onderzoek succesvol zijn, dan moeten onderzoekers het eindpunt van hun studie op voorhand definiëren. Vervolgens voeren ze de studie uit, meten ze hun vooraf bepaald eindpunt en bepalen ze of hun therapie überhaupt hun eindpunt heeft veranderd. De recent uitgevoerde First-HD studie met deutetrabazine is een goed voorbeeld. De onderzoekers bepaalden vooraf dat ze bewegingssymptomen zouden meten in groepen ZvH-patiënten die werden behandeld met Deutetrabazine, en bepaalden precies hoeveel verbetering zou moeten optreden voor een succesvolle test. Uiteindelijk heeft het medicijn de symptomen verbeterd, de proef 'bereikte het vooropgestelde eindpunt' en het FDA gaf toestemming om het medicijn te gebruiken voor de ZvH. Stel je nu voor dat je het ontstaan van de ziekte wil voorkomen of uitstellen voordat symptomen optreden. Je stelt een groep samen die bestaat uit ZvH-mutatiedragers zonder symptomen. Je geeft hen uw experimenteel medicijn en dan ... wat? Per definitie hebben de vrijwilligers nog geen ZvH-symptomen, en zijn er dus geen symptomen waar te nemen. Hoe kunnen we controleren of het medicijn werkt?

Te leen gaan bij kankeronderzoek

Dit probleem is niet uniek voor de ZvH - vergelijkbare problemen treden op bij het ontwerpen van preventieve studies voor andere ziektebeelden. Bij kanker, bijvoorbeeld, kan het doel van een nieuwe behandeling zijn om de komst van een bepaalde gebeurtenis, zoals een operatie of zelfs het overlijden, uit te stellen. Specifieke symptomen behandelen is dan niet het doel. Met name kankeronderzoekers hebben dit soort klinische proeven recentelijk gebruikt. Deze techniek wordt **progressievrije overleving** genoemd. De wiskunde achter progressievrije overleving is nogal ingewikkeld, maar het idee is heel eenvoudig. Het doel van een dergelijke studie is om de gemiddelde tijd te bepalen voordat een vooraf gedefinieerde gebeurtenis plaatsvindt. Bij de ZvH zou dit de formele diagnose van symptomen door een arts kunnen zijn. Het kan ook de tijd zijn totdat een andere gebeurtenis optreedt - bijvoorbeeld de ontwikkeling van een bepaalde hoeveelheid bewegingssymptomen. Als dit idee op de ZvH wordt toegepast hebben onderzoekers die een proef willen doen om het ZvH-begin te vertragen twee groepen symptoovrije vrijwilligers nodig: één groep die het experimenteel medicijn ontvangt, en een andere groep die een [placebo](#) krijgt. En vervolgens moeten zij in elke groep controleren hoe lang het duurt voordat het evenement plaatsvindt. Deze aanpak klinkt in theorie geweldig, maar zou dit in de realiteit echt werken voor de ZvH?

Een medicijn om de ZvH uit te stellen of te voorkomen zou geweldig zijn. Dit nieuwe onderzoek suggereert een manier om dergelijke medicijnen efficiënt te testen.

Nieuwe analyse

Wat de ZvH betreft hebben wij, gelukkig, uitstekende gegevensbronnen waar onderzoekers gebruik kunnen van maken. Twee langetermijnstudies - TRACK-HD en COHORT - werden ontworpen om bij personen met de ZvH-mutatie veranderingen op te volgen, inclusief bij personen die nog geen symptomen vertoonden. Hoewel er enkele verschillen waren tussen beide studies, was het kernidee voldoende vergelijkbaar om de data zinvol te kunnen gebruiken. Een team onderzoekers onder leiding van Jeff Long (University of Iowa) en Sarah Tabrizi (University College London), besloot deze bestaande datasets te gebruiken om te onderzoeken of een **progressievrije overleving** studie zou kunnen werken bij de ZvH. Natuurlijk hebben de onderzoekers voor deze analyse geen magisch medicijn ter beschikking om het begin van de ZvH te vertragen. Maar ze kunnen de gegevens van TRACK-HD en COHORT gebruiken in een soort schijnanalyse van wat er zou gebeuren als een dergelijk medicijn zou bestaan en of het dan een grote of kleine impact zou hebben op diverse effecten van de ziekte. Door gebruik te maken van hun ondervinding met ZvH-studies veronderstelden onderzoekers dat een studie met deze nieuwe progressievrije overlevings-eindpunten 3 jaar zou duren en dat ongeveer 1 op de 10 deelnemers zou afhaken. Uitgaande van deze veronderstellingen toonden ze aan dat zij een redelijk krachtig geneesmiddel om het begin van de ZvH te voorkomen, bij minder dan 400 personen zouden moeten testen. Dat lijkt echt haalbaar, geweldig nieuws.

Te onthouden

“De onderzoekers konden aantonen dat een redelijk krachtig geneesmiddel om het ontstaan van de ZvH te voorkomen, bij minder dan 400 mensen kon worden getest ”

Deze nieuwe analyse leert ons enkele belangrijke dingen. Ten eerste - het is belangrijk voor ZvH-gezinnen om mee te doen aan elk onderzoek waarvoor zij in aanmerking komen. De deelnemers aan TRACK-HD en COHORT wisten niet dat deze slimme nieuwe analyse zou gebruik maken van de gegevens die zij vrijwillig aan onderzoekers hadden afgestaan. Het onderzoeksproces is cumulatief. Al wat we via patiënten bijleren over de ZvH stelt ons in staat harder door te gaan, nieuwe hulpmiddelen te gebruiken en nieuwe inzichten te verkrijgen. Ten tweede levert dit onderzoek uitstekend bewijs dat de ZvH-gemeenschap een **progressievrije overlevingsproef** met succes zou kunnen voltooien. De Huntington gemeenschap heeft reeds deelgenomen aan een aantal studies met tot wel 400 deelnemers - waarmee potentiële proefponsors overtuigd kunnen worden dat we dit tot een goed einde kunnen brengen. Ondertussen zoekt men verder naar een medicijn dat men met dit soort proeven kan testen. Dit jaar en het volgende jaar zijn uitermate boeiend voor medicijnen, vooral voor huntingtine remmende medicijnen. Hopelijk zal een test om het ontstaan van de ZvH te verhinderen binnenkort een plaats krijgen tussen deze nieuwe methoden voor het ontwerpen van klinische proeven.

Ed Wild die dit artikel heeft bewerkt, is hoofdonderzoeker aan het UCL Huntington's Disease Center, waar Prof Tabrizi, de senior auteur van het besproken onderzoek, is gebaseerd. Dr. Wild was niet betrokken bij het onderzoek en besprak het artikel niet met Prof Tabrizi of iemand anders die bij het werk betrokken was. [Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangenconflicten, zie FAQ...](#)



Leer meer

[Origineel artikel in JAMA Neurology door Long en collegas \(volledige artikel vereist betaling of abonnement\)](#)

Onderwerpen

[observatieve geneesmiddelenontwikkeling klinische studie](#)

[Meer...](#)

Gerelateerde artikelen

[Verder kijken dan de krantenkoppen: resultaten van een klinische proef met cysteamine](#)

18 april 2019

[Teleurstellend nieuws over de LEGATO-HD-studie met laquinimod bij de ziekte van Huntington](#)

9 april 2019

[Vooruitgang op vele fronten in de strijd tegen het eiwit dat de ziekte van Huntington veroorzaakt](#)

7 maart 2019

[Vorige](#)[Volgende](#)

- Glossarium
- **placebo** is een namaakmedicijn zonder actieve ingrediënten. Het placebo effect is een psychologisch effect waardoor mensen zich beter gaan voelen, zelfs als zij een pil nemen die niet werkt.
- [Lees meer definities in de verklarende woordenlijst](#)

Wetenschappelijk nieuws over de Ziekte van Huntington.

In eenvoudige taal. Geschreven door wetenschappers.

Voor de hele ZvH gemeenschap.

HDBuzz

[Nieuws](#)

[Eerder uitgelicht](#)

[Over HDBuzz](#)

[HDBuzz sponsors](#)

[Websites met inhoud van HDBuzz](#)

[**new_to_research**](#)

Personen

[**meet_the_team**](#)

[**help_us_translate**](#)

Volg HDBuzz

Schrijf u in voor onze maandelijkse samenvatting per e-mail door het invoeren van uw e-mailadres hieronder of bekijk meerdere opties op onze [maillijst pagina](#)

© HDBuzz 2011-2019. De inhoud van HDBuzz mag vrij gedeeld worden met anderen, onder de [Creative Commons Licence](#).

HDBuzz is geen bron van medisch advies. Bekijk onze [Voorwaarden voor het gebruik](#) voor volledige informatie.

© HDBuzz 2011-2019. 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 22 april 2019 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/247>

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.