

Forskningsnyheter om Huntingtons sykdom. I et lettfattelig språk. Skrevet av forskere. Til det globale HS-fellesskapet.

Terapikonferansen i 2012: et tilbakeblikk



HDBuzz ser tilbake på Terapikonferansen for Huntingtons sykdom i 2012

Av Dr Ed Wild den 9. april 2012

Redigert av Dr Jeff Carroll; Oversatt av Dr Jan Frich

Opprinnelig publisert 3. april 2012

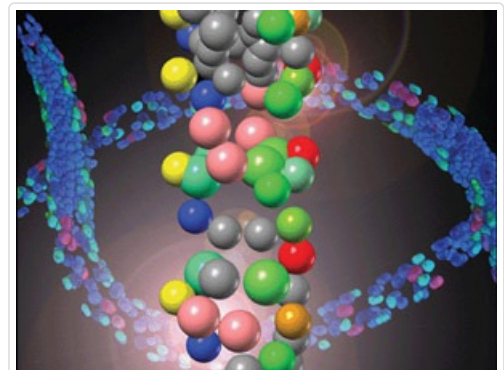
I denne spesialrapporten går vi igjennom Terapikonferansen for Huntingtons sykdom i 2012, årets største samling for de som jakter på medikamenter for HS. Det var enkelte store temaer som hadde gjort inntrykk da vi dro. De raske fremskrittene når det gjelder medikamenter for HS - fremveksten av en systembiologisk tilnærming for en helhetlig forståelse av sykdommen - og den økende kunnskapen som vokser frem og som vil kunne hjelpe oss å gjennomføre studier som kan ha stor innvirkning på HS.

Palm Springs fjellrike ørken utgjorde et storartet bakteppe for Terapikonferansen for Huntingtons sykdom i 2012. Konferansen som er arrangert av CHDI, den største finansieringskilde og pådriver for HS-forskning globalt, tiltrakk seg mange av de fremste HS-forskere i verden, og brakte dem sammen for å diskutere den nyeste forskningen og for å utveksle erfaring.

Systembiologi

Konferansen startet med et uvanlig tema - fokus på **systembiologi**. Dette er begrep som gjenspeiler den enkle tanke at ingenting i biologien skjer i isolasjon. I likhet med det alle som har fulgt pasienter med HS alt vet, vil ethvert symptom påvirke andre symptomer på komplekse og uforutsigbare måter. Systembiologi er tanken om at alt henger sammen anvendt på forskningen om HS - fra molekyler og celler til samfunn.

Datamaskiner og teknologi kan hjelpe forskere å studere mye mer enn den menneskelige hjerne kan håndtere alene. Eksempelvis er det nå blitt like lett kartlegge hele arvematerialet hos en person som å teste eller måle endringer i ett gen. Det å skaffe til veie store mengder data vil bli lettere - det som er krevende er å omgjøre slike datamengder til meningsfull informasjon. Hvordan bruker vi all informasjonen vi kan samle til å utvide vår forståelse av HS? Eller - hvordan kan vi omgjøre ideer til kunnskap?



Hanchuan Peng sine mikroskopiske dyrekart i 3D er et eksempel på hvordan systembiologi kan hjelpe oss til å forstå biologiske prosesser. Foto av: Nature Publishing Group

Det er dette systembiologi dreier seg om - og CHDI har et stort engasjement for feltet. De har ansatt en ny visepresident, **Keith Elliston**, som har i oppdrag å fremme systembiologiske tilnærminger for å få mest mulig ut av HS-forskernes innsats. HDBuzz fikk gjort et intervju med Elliston - det kommer i en senere artikkel.

CHDI har til og med frisket opp sin egen logo for å markere satsningen. **Simon Noble** presenterte den nye logoen - et tre laget av overlappende sirkler, som gjenspeiler CHDI sin tanke om at atomer, gener, celler og mennesker er grunnleggende knyttet til hverandre i bestrebelsen etter å finne effektiv behandling for HS.

Den systembiologiske tilnærmingen ble greiet ut om i en rekke foredrag, hvor **Lee Hood** (Institute for Systems Biology i Seattle) var først ute. Hood har brukt tiår på å bruke teknologi i studiet av menneskelige sykdommer, og hans organisasjon har nylig fattet stor interesse for HS. Et eksempel på arbeidet som nå er blitt mulig er forskning hvor Hoods gruppe kartlegger hele arvematerialet til flere HS-familier, hvor de leter etter sjeldne DNA-forandringer som påvirker alderen for når HS starter. Tanken er at hvis vi kan forstå hvorfor noen mennesker får symptomer sent eller tidlig, så kan vi finne nye mål for å utvikle legemidler.

I forlengelsen av dette temaet reflekterte **Jim Gusella** over sitt arbeid for å påvise gener som kan påvirke hvordan HS utvikler seg. Gusella sin gruppe samlet nylig og analyserte på nytt en mengde data ved bruk av nyere statistiske teknikker, for å granske om tidligere kunnskap om "genetiske modifierere" var holdbar. Gusella planlegger å anvende analysemetoder som ser på samvirket mellom gener, for å få mest mulig kunnskap fra store genetiske studier som gjennomføres.

Hanchuan Peng (Howard Hughes Medical Institute) kunne vise til et imponerende eksempel på hvordan systembiologi kan øke vår forståelse. Ved bruk av den nyeste teknologien har han laget ufattelig detaljerte 3D kart over en mark kalt *C. elegans*, som er vanlig å bruke i forskning innen genetik. Disse kartene vil hjelpe oss å bevege oss fra et nivå hvor sykdommer eller behandlinger kan studeres ut fra hvordan de påvirker hele nettverk av celler.

"Gene silencing"

Det å skru av gener ('gene silencing') er en enkel ide som er lovende når det gjelder behandling for Huntingtons sykdom. Medikamenter som skrur av gener - med navn som RNAi og ASO - er skreddersydd for å feste seg til "beskjed-molekylet" som lages fra HS-genet. Når medikamentet fester seg til "beskjed-molekylet", reduseres mutert protein. Håpet er at dette vil gjøre det mulig for nerveceller som er skadet av HS å gjenvinne funksjon.

Så langt har alle resultater fra dyrestudier indikert at det å skru av gener er effektivt og sikkert nok til at vi kan starte utprøving hos mennesker. For øyeblikket er det minst fire grupper som planlegger studier for å teste ulike medikamenter som kan skru av gener hos pasienter med HS. Terapikonferansen har diskutert det å skru av gener tidligere, men denne gangen var det nye taktik - nå dreier samtalen seg rundt praktiske spørsmål knyttet til å starte studier på mennesker raskt og sikkert, og å forutse og unngå mulige problemer.

Frank Bennett snakket på vegne av Isis Pharmaceuticals, et selskap som spesialiserer seg på en type medikament som kan skru av gener og som kalles ASO. Et ASO er et DNA-liknende molekyl med én trå i stedet for to. ASOer sprer seg bra gjennom hjernen, så Isis planlegger å injisere stoffet inn i ryggmargsvæsken nederst i ryggen. Dette kan høres ille ut, men husk at alternativet er å sprøyte stoffet inn i hjernen. Bennett fortalte at Isis så langt har gitt medikamenter som skrur av gener til over 2000 pasienter med ulike sykdommer - noe som gir en viss trygghet.

Bennett diskuterte utviklingen av Isis sitt ASO-medikament for å skru av gener ved Huntingtons sykdom. En studie hvor man sprøytet inn ASO-medikamentet i ryggmargsvæsken hos aper viste at det nådde ulike hjerneområder, spesielt i hjernebarken (den buklete overflaten på hjernen). De dypere strukturene i hjernen som rammes tidlig ved HS - striatum - fikk en lavere dose av stoffet, men kun studier på mennesker vil kunne fortelle oss om det er nok til å utgjøre en forskjell. Heldigvis var medikamentet vel tolerert og forårsaket ikke skade - et avgjørende skritt på veien til å gjøre utprøvinger hos pasienter.

Isis nåværende fokus er på medikamenter som skrur av begge kopier av HS-genet som vi alle har. Det er lettere å gjøre og lettere å teste, så det gir mening å starte med dette. Men Isis jobber også med medikamenter som retter seg kun mot de muterte genet og lar den normale kopien være i fred. De har utviklet spesielle HS-mus for å kunne teste ut disse 'allel-spesifikke' medikamentene.

Neil Aronin fra University of Massachusetts ga en lærerik oppdatering på noen av utfordringene han jobber med når det gjelder medikamenter som skrur av gener. Aronin er spesielt interessert i allel-spesifikke medikamenter som retter seg kun mot det muterte genet. I likhet med andre grupper som jobber med å skru av gener har Aronins gruppe startet å fokusere på de praktiske spørsmål knyttet til å gjennomføre forsøk på mennesker. Han har rekruttert en kollega som er nevrokirurg for å prøve ut noe nytt og uvanlig - å utføre hjernekirurgi på en sau. Sauer har hjernen som er nesten like store som hos mennesker, så de er ideelle når det gjelder å finpusse billedteknikker og kirurgi som vil trenge for å kunne gi medikamenter som skrur av gener hos pasienter.

Aronins gruppe er svært opptatt av å redusere sjansen for bivirkninger av slike medikamenter. Ved å bruke store Legoklosser viste han hvordan medikamenter kan brytes ned til mindre biter og at de igjen vil kunne binde seg til et "beskjed-molekyl" - og på den måten vil kunne skru av andre gener vi helst ikke vil tukle med. Ved å øke vår kunnskap om hvordan celler bryter ned medikamenter som skrur av gener, kan det bli lettere å lage medikamenter som reduserer slike effekter på siden av det som er planlagt.

« En ny æra starter, med en rekke behandlinger mot HS som er laget for å testes ut på pasienter



Noen av de nyeste resultatene når det gjelder det å skru av gener ved HS ble nylig publisert av et team bestående av Medtronic, RNAi-produsenten Alnylam og forskere ved University of Kentucky. Medtronics **Bill Kaemmerer** fortalte at en klinisk studie av medikamentet deres og måten det ble gitt på hos pasienter er i en langtkomment planleggingsfase.

Kaemmerer diskuterte utfordringen ved å finne ut om medikamentet hadde virket hos pasienter - noe som ikke er en enkel sak i og med at HS forårsaker så langsomme endringer, over år. Hvis vi er heldige vil vi se forbedring på kliniske mål. Men vi er ikke garantert det, selv om medikamentet virker. Så vi trenger en plan B.

Målinger av **biomarkører** i hjernen kan hjelpe - kjemiske stoffer som slippes ut fra nerveceller som ikke fungerer som de skal eller er døende. Hvis behandlingen endrer nivået av disse biomarkørene, så kan dette gi et hint om medikamentet virker eller ikke. Medtronic foreslår å bruke flere mulige biomarkører når de skal gjennomføre studiene sine.

Steve Zhang (Sangamo BioScience) snakket om neste generasjons tilnærming til avskruing av gener, gjennom bruk av **zink-finger** medikamenter. Dette er medikamenter som kan binde seg direkte til et gitt sted på vårt DNA. Zink-finger medikamenter kan hindre HS-genet å bli avlest, eller - en gang i fremtiden - gjøre endringer i arvematerialet for å klippe ut det skadelige genet. Det vil ta lang tid før slike teknikker kan komme til anvendelse, men det er flott å vite at slike spennende teknikker brukes ved HS slik at forhåpentligvis vil kunne se en vedvarende forbedring i våre muligheter for å behandle sykdommen.

Naboer ved siden av

Alle har store forhåpninger knyttet til det avskruing av gener ("gene silencing"), men vi må være forsiktige så vi ikke legger alle eggene våre i en kurv. Medikamenter som kan skru av gener vil kanskje ikke alene være nok for å stoppe HS helt, og de fleste forskere ser at flere behandlinger som retter seg mot ulike aspekter ved HS kan være nødvendig. Sesjonene om andre typer behandling 'før' og 'etter' var viktige.

Vi tenker her på 'naboene ved siden av', like før og etter der hvor huntingtin-proteinet lages. Det første skrittet når et protein lages er å lage et RNA 'beskjed-molekyl' som bruker HS-genet som oppskrift. Denne **RNA produksjon** prosessen er naboen 'før'. Naboen 'etter' er det som skjer etter at proteinet er laget: Kjemiske merkelapper er heftet på som endrer hvordan proteinet håndteres i cellene. Den prosessen kalles **post-translasjonsmodifikasjon**.

Hvorfor en slik oppmerksomhet mot naboene? De ligger tett på det muterte proteinet, så små endringer i disse prosessene kan utgjøre en stor forskjell når det gjelder proteinets skadelige effekter.

Melissa Moore (University of Massachusetts) forklarte hvordan det kan være mulig å utnytte cellers apparat for RNA produksjon for å behandle HS. Medikamenter som retter seg mot RNA kan ikke tas som piller og krever kirurgi for å plasseres i hjernen. Fordelen med å angripe

apparatet for RNA produksjon snarere enn RNA i seg selv er at små stoffer - slike som kan tas som en pille - kan virke.

I praksis kan vi ende opp med både å angripe RNA beskjed molekylet og apparatet som lager RNA. For eksempel ble et protein kalt SPT4 nylig funnet å spille en rolle i å lese lange CAG-repetisjoner i vårt DNA. Et medikament som retter seg mot SPT4 kan muligens øke effekten av medikamenter som skrur av gene, ved å hjelpe det å finne den muterte kopien av genet. Medikamenter som virker på cellenes RNA produserende apparat testes alt ved sykdommer som cystisk fibrose og liknende tilnærminger studeres nå ved HS.

Nako Tanese (New York University) diskuterte en finurlig ny rolle for huntingtin-proteinet. Huntingtin har en rekke funksjoner, og man finner nye funksjoner hele tiden. Tanese sin gruppe fant at huntingtin er assosiert med flere RNA beskjed-molekyler, noe som gjør at man kan tenke seg at en av jobbene til huntingtin er å løse RNA rundt i cellene. For å gjøre saken mer komplisert, så ser det ut til at huntingtin muligens også har en slik rolle når det gjelder eget RNA molekyl. Det å forstå de grunnleggende funksjonene til huntingtin er viktig når vi nærmer oss et stadium hvor man endrer produksjonen og funksjonen til huntingtin hos pasienter.

Lisa Ellerby vendte seg til naboen 'etter' og gikk igjennom en rekke merkelapper som kan festes på ulike deler av huntingtin-proteinet. Ulike molekylære stoffer kalt enzymer legger til og fjerner slike merkelapper, avhengig av situasjonen cellen befinner seg i.

Hvordan vet vi hvilken merkelapp og hvilke enzymer som er de viktigste? **Marcy MacDonald** ved Massachusetts General Hospital foreslo at vi kunne bruke det spesielle ved HS-mutasjonen som hjelp for å treffe et valg. Vi vet at det muterte huntingtin blir mer skadelig hvis det inneholder flere byggestener kalt glutamin - som hver og en korresponderer til ett CAG i HS-genet. MacDonald har laget huntingtin-protein med ulike mengder glutamin. Endringene som finnes i de lengre proteinene kan være de viktigste å fokusere på.

Dimitri Krainc (også ved Massachusetts General Hospital) ga en oppdatering på en tupe post-translasjonell modifikasjon kalt **acetylering**. Ved å klistre en 'acetyl' merkelapp på huntingtin-proteinet forteller man cellene at de skal bli kvitt det ved å løse det opp. Et enzym kalt HDAC4 fjerner acetyl-merkelappen, og dermed forventer vi at det å redusere HDAC4 aktiviteten vil være bra. Når Krainc sin gruppe laget celler uten HDAC4 fant de at fjerningen av huntingtin økte.

Ett HDAC enzym, sirtuin-1, er i fokus i en ny HS-studie. Selisistat - et medikament som reduserer sirtuin-1 sin aktivitet testes nå i Europa i en studie kalt PADDINGTON. Krainc sin gruppe har funnet at medikamentet ikke virker på sirtuin-1 for å øke acetyl-merking, som ventet. De publiserte resultatene av den første fasen av studien vil forhåpentligvis fortelle oss mer.



Ikke putt alle eggene dine i en kurv. Mange ulike tilnærminger for å behandle HS er gjenstand for forskning, slik at hvis en av dem ikke slår til så finnes det andre muligheter.

Lite er vakkert

De som jakter på medikamenter er svært interessert i **små molekyler**. Store eller komplekse kjemiske stoffer er ikke så ofte gode medikamenter, fordi de vanligvis er ustabile og det er vanskelig for dem å nå inn i hjernen. Det ideelle medikamentet er et lite molekyl som retter seg mot et bestemt mål. De som utvikler medikamenter gjør en rekke fine justeringer for å styrke de ønskede egenskapene og for å redusere bivirkningene.

Ett område hvor de som utvikler medikamenter har hatt stor fremgang på de siste årene er **fosfodiesterase (PDE) hemning**. **Vahri Beaumont** ved CHDI og **Chris Schmidt** ved Pfizer presenterte resultatet av deres samarbeid i fellesskap. Året før hørte vi om synapser - de kjemiske koplingene som overfører signaler mellom nerveceller - og PDE enzymer som bryter ned signalstoffene på enden av synapsen. Vi vet at det skjer noe feil i synapsefunksjonen ved HS, og at dette synes å være knyttet til PDE-enzymers funksjon. Fordi koplingene er så avgjørende i hjernen, håper man at det å bedre synapsefunksjonen kan bedre symptomer ved HS - og hvis vi er heldig, kan det også hemme sykdomsprosessen.

Det finnes mange PDE enzymer og forskningen har funnet at PDE9 og PDE10 er de to som er av størst betydning ved HS, og som er de mest sannsynlige mål for medikamenter. Ved å studere levende snitt av HS-mus sine hjerner kan vi påvise unormal elektrisk atferd. Beaumont rapporterte at det å bruke medikamenter som hemmet PDE9 og 10 ørste til mer gunstige elektriske egenskaper i disse hjernesnittene. Det som var spennende var at man også så forbedringer i funksjoner over tid knyttet til læring og hukommelse.

Schmidt fortalte om Pfizer sin nøyte gjennomtenkte plan for å prøve ut PDE hemmere i studier på mennesker. PDE10, det mest lovende målet, var prioritert. Først vil Pfizer gjennomføre dyrestudier for å se på medikamentets sikkerhet og effektivitet. Vi kan ikke skjære folks hjerner opp og plassere elektroder der, så vi vil trenge biomarkører for å gi et tidlig hint om stoffet gjør slik vi tenkt. Dette er det samme prinsippet som vi nevnte under studiene med å skru av gener. For Pfizer innebærer dette å utvikle nye billedteknikker for hjernen for å studere hvordan synapser fungerer hos mennesker.

Pfizers tidsplan for PDE10 hemmere inkluderer studier hos mennesker på slutten av 2012 og en større 6-måneders utprøving i 2013-14. "Dette handler ikke om å kaste seg hodestups inn i en studie ... men det er snakk om et klinisk eksperiment," sa Schmidt, "så om vi lykkes eller mislykkes, vil vi lære masse".

KMO hemmere var en av de store nyhetene i 2011. KMO er et enzym som endrer balansen mellom et stoff som beskytter nerveceller - Kyna - og et annet som skader dem - Quin. Et medikament som er utviklet av Paul Muchowski sin gruppe, JM6, ble rapportert å redusere aktiviteten til KMO og gjorde at HS-mus levde lengre. **Ladislav Mrzljak** avslørte CHDI sin fremste KMO hemmer kandidat - **CHDI-246**. Dette konstruerte medikamentet har gunstige egenskaper og ser så langt ut til å gi positive endringer i hjernens kjemi, og er trygt. Interessant

nok - akkurat som for JM6 - så går ikke CHDI-246 inn i hjernen. Det synes å gi positive effekter ved å hemme HMO i celler i blodet. Dette er en ny og banebrytende tilnærming til utvikling av medikamenter for hjernen - men hvis det virker, så vil det trolig bli etablert.

CHDI gjør nå nye tester av CHDI-246 på tre ulike typer rottemodeller for HS. Det er mer omfattende enn hva andre stoffer gjennomgår, men vi ser at det er avgjørende å teste medikamenter på denne måten, for å forsikre oss om at kun de beste går videre til dyre og tidkrevende studier på mennesker.

En annen legemiddelgigant, Novartis, har akkurat avsluttet en HS-studie med mennesker.

Graham Bilbe beskrev hvordan deres medikament, **Mavoglurat**, blokkerer glutamatrespetorer i hjernen og tenkt å være en behandling for symptomer ved HS - særlig ufrivillige bevegelser. Resultatene av studien forventes å foreligge snart. En viktig lærdom her er hvor lang tid det tar å utvikle et medikament - tanken på å blokkere glutamat reseptorer ble født for flere tiår siden, og etter år med intenst arbeid testes det nå ut hos mennesker.

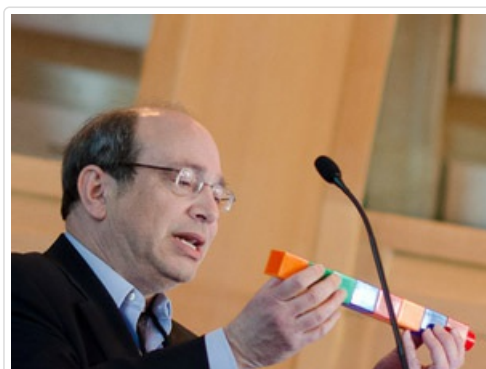
Å få det til første gangen

Med alle disse medikamentene klar for å testes ut er det avgjørende at neste generasjon kliniske utprøvnings på mennesker er smart og effektivt lagt opp. Det å teste ut medikamenter er utrolig dyrt og det er viktig å få det til i første forsøk. Vi er nå inne i en tid hvor fremskritt er gjort og vi er nå klar til å teste ut medikamenter som ligger og venter.

Den som leder CHDI sine kliniske utprøvnings er **Christina Sampaio**. Som tidligere leder av European Medicines agency, bringer Sampaio med seg mye ekspertise når gjelder å teste medikamenter og få dem godkjent - og hun har nå samlet kreftene sine utelukkende om Huntingtons sykdom! Sampaio, som ikke er redd for å gi uttrykk for kontroversielle meninger, at vi må bevege oss videre bort fra gamle tilnærminger som ikke har nådd frem. Vi må gjennomføre smarte studier heller enn å gjøre store og langtekkelige studier, foreslo hun.

Sampaio sa også at nye behandlinger trolig ville testes ut først hos mennesker med symptomer på HS, hvor det er mulig å vurdere suksess. Behandlinger som virker vil så testes ut for å se om de kan hindre utvikling av symptomer. Hun gjentok også en tidligere ide om at mange typer behandling med ulike effekter kan være nødvendig ved HS.

Sarah Tabrizi (University College London) markerte slutten på en ære og starten på en ny ved å fortelle om de endelige 3-prs dataene fra den internasjonale Track-HD studien. Track-HD hadde som mål å påvise de beste målene for å teste medikamenter i ulike stadier av HS - **biomarkørene** vi nevnte tidligere. Tabrizi viste hvordan **Track-HD toolkit** kunne brukes for å avgjøre hvor mange mennesker som ville trenge for en studie av et hvilket som helst medikament, og



Neil Aronin bruker store Legoklosser for å forklare hvordan medikamenter som skrur av gener kan brytes ned til mindre molekyler som kan gi egne bivirkninger. Foto: Lev Blumenstein, CHDI.

hvilke biomarkører som ville være mest egnet til å teste det.

Track-HD påviste hjerneforandringer lang tid før HS-diagnosen. Dette kan kanskje høres bekymringsfullt ut, men det kan også ses på som en bra ting, fordi det viser at hjernen er god på å kompensere for skade. Som Tabrizi sa det: "Det er mye som vi kan redde".

Med dette i tankene annonserte Tabrizi en ny studie **TrackON-HD**, med mål om å kartlegge disse endringene i hjernens funksjon ved HS før tegn på sykdom gjør seg gjeldende, for å hjelpe oss å forstå hjernens måte å kompensere på, og som kanskje kan gi oss biomarkører for studier ved 'presymptomatisk' HS.

Å tenke det store bildet

Samtaler om starttidspunkt for symptomer ved HS beredet grunnen for **Mark Guttman** (Centre for Movement Disorders, Ontario), som åpnet for en debatt om hvordan Huntingtons sykdom er definert. Er HS tilstede fra fødselen av, begynner den når nevrologen diagnostiserer den, eller er det et 'spekter' av symptomer som utvikler seg gradvis over mange år? Dette er et viktig emne, fordi diagnosen av at sykdommen har startet er vanligvis brukt som grunnlag for viktige beslutninger knyttet til jobb og familieplanlegging - og har betydning for hvem som kan være kontroller i kliniske studier og for godkjenning av nye medikamenter.

Området er trolig mindre kontroversielt enn hva man får inntrykk av gjennom ulike sterke oppfatninger man ofte hører. Både pasienter og leger vet at mindre endringer forutgår den offisielle HS-diagnosen. Så kanskje det som trengs er et bedre språk for å beskrive dem. En diskusjon i det globale fellesskapet for å avklare dette er startet.

I sitt avslutningsforedrag så **Michael Hayden** (University of British Columbia) langt fremover. Nye tall tyder på at HS er to ganger så vanlig som vi før har antatt. Hvis man legger dette sammen med en aldrende befolkning, vil HS bli en relativt vanlig sykdom med flest tilfeller hos eldre - noe som de som planlegger helsetjenester bør interessere seg for, mener Hayden. I mellomtiden studerer Hayden sæd for å finne ut hvor ofte CAG-tall øker eller minsker for å bedre treffsikkerheten når det gjelder genetisk veiledning til folk som har risiko for HS.

En ny æra

Vi hadde høye forhåpninger for Terapikonferansen i 2012 og er ikke skuffet. Vi går inn i en ny æra når det gjelder utvikling av medikamenter for HS, med en rekke behandlinger for HS som er klar for å bli testet ut hos pasienter, som følge av all kunnskapen som er samlet siden HS-mutasjonen ble påvist for omlag tjue år siden. Dette gjør at vi er et annet sted enn vi var så kort tid som for fem år siden.

Ikke bare har vi medikamenter å teste ut - og flere på vei - men vi har også en klar ide om hvordan vi skal teste dem ut, også, takket være studier som Track-HD. Nye kliniske legemiddelutprøvinger bør gjennomføres bra, smart og effektivt. Det er ingen garanti for at noen eksperimentell behandling vil virke, men vi er mer trygg på at studier og medikamentene som testes ut, er så gode som de kan bli.

Når det gjelder bestemte ting, se opp for nyheter om PDE-hemmende medikamenter og medikamenter som skrur av gener de neste måneder og år. Der hvor du leser denne artikkelen er stedet du vil finne siste nytt om forskning på behandling for HS.

Dr. Wild og dr. Carroll sin konferanseavgift for Terapikonferansen ble betalt av CHDI Foundation som er sponsor for konferansen, men deres deltakelse ble støttet av HDBuzz og Det europeiske nettverket for Huntingtons sykdom, via midler som er uavhengig av CHDI. CHDI har ikke hatt noen innflytelse på valg av temaer eller det som er skrevet om konferansen på HDBuzz. For mer informasjon om våre publiseringsregler, se FAQ...

Ordliste

klinisk studie Veldig nøye planlagte eksperimenter designet for å få svar på spesifikke spørsmål om hvordan legemidler påvirker mennesker

glutamin aminosyren som gjentas for mange ganger i begynnelsen av det muterte huntingtin-proteinet

HDAC histondeacetylase (HDAC) er "maskiner" som fjerner acetyl-vedheng fra histonene, og forårsaker at de frigjør det DNA'et som de er bundet til

RNA den kjemiske forbindelsen som likner på DNA, og som utgjør 'budskaps' molekylene som cellene bruker som en slags arbeidskopi av genene når de produserer proteiner.

KMO kynurenin monooksygenase, et enzym som kontrollerer balansen mellom skadelige og beskyttende kjemiske stoffer som oppstår ved nedbrytning av proteiner

© HDBuzz 2011-2017. Innhold fra HDBuzz kan deles fritt under Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz er ikke en kilde for medisinsk rådgivning. Ytterligere informasjon er tilgjengelig på hdbuzz.net

Oppdatert 21. juli 2017 — Lastet ned fra <https://no.hdbuzz.net/079>