

Novità dalla ricerca sulla Malattia di Huntington In un linguaggio semplice. Scritto da ricercatori. Per la comunità mondiale MH.

HDBuzz raccoglie le vostre domande per il Therapeutics Meeting annuale della CHDI



HDBuzz in trasferta a Palm Springs per discutere con CHDI delle ultime ricerche sulla MH. Inviateci le vostre domande

Di Dr Ed Wild su 28 Luglio 2011

A cura di Dr Jeff Carroll; Tradotto da Dr. Paola Zinzi

Articolo pubblicato per la prima volta 28 Gennaio 2011

Nel corso degli ultimi anni, CHDI Inc. è diventata il leader principale per lo sviluppo di trattamenti per la MH. Il Therapeutics Meeting annuale CHDI a Palm Springs, in California, riunisce insieme compagnie farmaceutiche, aziende biotecnologiche e ricercatori per condividere le loro ultime, più interessanti scoperte e discutere del percorso verso una cura. HDBuzz pubblicherà dei resoconti della conferenza - e vogliamo le vostre domande!

CHDI

Molte persone con MH probabilmente non hanno mai sentito parlare di CHDI Inc. Speriamo che le cose cambino, visto che CHDI e membri delle famiglie con MH condividono lo stesso obiettivo. Il sito web CHDI spiega che il suo scopo è quello di "scoprire rapidamente e sviluppare farmaci che possano ritardare o rallentare la Malattia di Huntington". Questo è un obiettivo che tutti noi perseguiamo.

Allora, che cos'è CHDI, e come si inserisce nell'ambito della ricerca sulla MH?

CHDI è una 'compagnia biotecnologica virtuale' senza scopo di lucro. Ciò significa che ci sono un certo numero di ricercatori che lavorano a tempo pieno sulla MH. Ma piuttosto che lavorare su un singolo progetto alla volta in autonomia, ogni ricercatore CHDI gestisce una serie di progetti esterni. Lavorano insieme sia a laboratori accademici, che ad organizzazioni commerciali che effettuano ricerche in base ad accordi contrattuali. In questo modo, CHDI è in grado di condurre una enorme quantità di ricerca di base per un'organizzazione delle sue dimensioni.



CHDI è una 'compagnia biotecnologica virtuale' senza scopo di lucro

Annual Therapeutics Meeting

Negli ultimi sei anni, CHDI ha organizzato una conferenza per riunire le eminenze della ricerca sulla MH per quattro giornate di condivisione di idee e di discussione su come realizzare terapie per la MH.

Ci sono molte conferenze accademiche, ma il Meeting CHDI è un'esperienza unica. I rapporti che CHDI ha sviluppato con i suoi collaboratori sono a cavallo tra il mondo della ricerca accademica e clinica e gli aspetti commerciali della produzione di farmaci.

E' piuttosto raro riunire una così vasta gamma di competenze in un singolo congresso scientifico, e ciò favorisce collaborazioni uniche tra ricercatori accademici e organizzazioni commerciali. Inoltre, dal momento che la missione di CHDI è così esplicita, ogni anno c'è una attenzione molto forte sui pazienti, e su come trasformare le idee in trattamenti.

Quest'anno sono attesi aggiornamenti significativi da molti scienziati. Ci sarà una intera mattinata di presentazioni dedicate alle strategie per ridurre i livelli della proteina huntingtina. Questi approcci includono il silenziamento genico con siRNA, una strada di cui molti nella comunità sono entusiasti. Altre sessioni sono dedicate agli sforzi per capire i problemi energetici osservati nella MH, l'uso di fattori di crescita come terapia, ed altre interessanti aree di ricerca.

Le ricerche in corso

Sviluppare un farmaco è un processo lungo. Comincia quando un ricercatore fa un'osservazione che aiuta a spiegare come capita una malattia. Trasformare quella conoscenza in un farmaco richiede un complesso insieme di passi.

In primo luogo, devono essere scoperte le molecole che possono alterare il processo. Di solito questo viene sviluppato in cellule singole. Successivamente, il farmaco deve essere testato in modelli animali della malattia, a cominciare da quelli semplici come i moscerini della frutta e andando avanti poi con animali più complessi come i topi.

Se i farmaci continuano a funzionare, hanno bisogno di essere testati per la tossicità, per garantire che non abbiano gravi effetti collaterali. Infine, se sono sicuri ed efficaci negli animali, devono essere testati sugli esseri umani.

Le organizzazioni che sviluppano farmaci di solito lavorano su molte diverse sostanze allo stesso tempo. Si parla di una 'rosa' di farmaci - alcuni proprio all'inizio del processo di sviluppo, e alcuni più avanti. CHDI ha la sua propria rosa di farmaci in sviluppo, e il meeting di quest'anno includerà una entusiasmante relazione dal titolo 'Programmi interni CHDI in fase avanzata'.



Se ci fosse la possibilità di avere di fronte a voi le persone che dirigono gran parte della ricerca sulla MH, cosa vorreste sapere?



Domande per CHDI? Inviatele a noi!

Ad HDBuzz è stata accordata un'intervista in esclusiva con l'alta direzione di CHDI al Meeting di quest'anno. Avremo di fronte Robert Pacifici, Capo del Dipartimento Scientifico CHDI, come pure i Vice Presidenti delle Sezioni Biologia (Ignacio Muñoz-Sanjuan) e Chimica (Celia Dominguez). Ci auguriamo che questa sarà una opportunità eccezionale per i pazienti e le famiglie con MH di scoprire CHDI e il suo lavoro di sviluppo dei farmaci.

Ci piacerebbe avere la vostra opinione. Se aveste la possibilità di avere di fronte a voi le persone responsabili di gran parte della ricerca sulla MH, cosa vorreste sapere? Avete domande su dove sono arrivate particolari branche di ricerca?

Inviateci le vostre domande a CHDI2011@HDBuzz.net e noi le inoltreremo alla dirigenza CHDI. Questa è la vostra occasione di porre domande dirette sullo stato attuale e sul futuro della ricerca sulla MH alle persone che ne sono leader. Fate sentire la vostra voce!

HDBuzz, in diretta da Palm Springs

A fine giornata durante la conferenza, editori e autori di HDBuzz pubblicheranno un articolo di aggiornamento quotidiano su HDBuzz.net, che faccia un resoconto di tutte le ricerche più all'avanguardia, in un linguaggio semplice.

Poi, verso la fine della conferenza, pubblicheremo un altro articolo sulla nostra intervista con la direzione CHDI. Inviateci le vostre domande a CHDI2011@HDBuzz.net!

Il Dr Carroll e il Dr Wild hanno in passato condotto ricerche scientifiche sulla MH finanziate da CHDI ma non hanno ricevuto alcun compenso al di fuori dei finanziamenti scientifici. La loro partecipazione alla conferenza CHDI è finanziata dall'European HD Network, una rete indipendente di professionisti interessati alla MH, con fondi totalmente indipendenti da CHDI. Per ottenere più della informazione riguarda la nostra norma di divulgazione, leggi il nostro FAQ...

Glossario

Proteina huntingtina Proteina prodotta dal gene della MH.

Silenziamento genico Un approccio per trattare la MH che usa molecole bersaglio per dire alle cellule di non produrre la proteina huntingtina tossica.

Terapie Trattamenti

siRNA Un modo di silenziare i geni usando molecole appositamente progettate di RNA - come il DNA ma fatte solo di un singolo filamento - che colpiscono le molecole messaggere nelle cellule e dicono loro di non produrre una determinata proteina

© HDBuzz 2011-2017. Il contenuto di HDBuzz è condivisibile sotto Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz non è una fonte di consigli medici. Ulteriori informazioni disponibili a hdbuzz.net

Creato al 23 Maggio 2017 — Scaricato da <https://it.hdbuzz.net/015>