

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

Aggiornamenti di Oz Buzz: Seconda Giornata



Secondo Rapporto dal Congresso Mondiale sulla Malattia di Huntington di Melbourne 2011.

Di Dr Ed Wild su 13 Settembre 2011

A cura di Dr Jeff Carroll; Tradotto da Dr. Immacolata Carriero

Il nostro resoconto conclusivo giornaliero dal Congresso Mondiale Huntington riunisce tutti gli aggiornamenti in tempo reale via Twitter. Video della sessione Oz Buzz del giorno con novità, interviste e profili saranno disponibili su HDBuzz.net più in là nella settimana.

Martedì, 13 Settembre 2011

8.44 - Buona giornata a tutti da Melbourne: seconda giornata dal Congresso Mondiale Huntington. Il video in diretta della sessione Oz Buzz di ieri è ora su youtube.com/user/hdbuzzfeed

8.57 - Una volta che avremo dei farmaci, come faremo a stabilirne i dosaggi? Karl Kiburtz suggerisce alcune tecniche.

9.05 - Più tardi intervisteremo in diretta dal palco Robert Pacifici, Capo Ufficio Scientifico di CHDI. Mandate le vostre domande in tema di farmaci e sperimentazioni!

9.12 - "Per un cacciatore di farmaci non c'è nulla di più prezioso dell'osservazione condotta sulla popolazione che si vuole trattare" - Robert Pacifici, CHDI

9.15 - Dunque, aderite agli studi osservazionali! PREDICT-HD e TRACK-HD sono due delle opzioni.

9.31 - Un altro studio osservazionale da prendere in considerazione è ENROLL-HD

9.33 - "Non c'è nulla come un modello animale di MH, buono o cattivo che sia, perché ci dice comunque cose utili su aspetti diversi"- Pacifici

9.34 - Dobbiamo capire come funzionano i nostri farmaci sperimentali, e a quali problemi si indirizzano, se vogliamo sperimentarli con successo. Pacifici

9.46 - Joaquim Ferreira - E' tempo di affrontare la sfida di come sperimentare i farmaci nelle persone con la mutazione ma senza sintomi.

9.48 - Ferreira - Progettare sperimentazioni in modo accurato può aiutarci a differenziare gli effetti sui sintomi e a modificare la progressione della malattia.



Segui Ed e Jeff che insieme a Charles Sabine presentano le news, le interviste e i servizi speciali di Oz Buzz su YouTube

- 9.52 - Studi come PREDICT, TRACK ed ENROLL sono essenziali per arrivare a metter su le sperimentazioni nella fase presintomatica e raccogliere abbastanza partecipanti. Ferreira
- 9.59 - Le agenzie che regolamentano i farmaci sono disposte a prendere in considerazione altre regole per permettere di sperimentare farmaci nella MH prima dell'insorgenza dei sintomi se la comunità è d'accordo.
- 10.04 - "C'è un numero impressionante di cose che spingono in direzione di studi sperimentali che erano stati disegnati proprio avendo in mente la MH" - Pacifici
- 10.47 - **Jeff:** Steve Finkbeiner ha costruito dei microscopi robotizzati per capire in che modo la huntingtina mutante uccide le cellule. Davvero attuale.
- 10.51 - Jeff riferisce ora sulla sessione "Scienza di base: omeostasi della proteina". Ed riferisce sui "Marcatori biologici".
- 10.53 - *Ed:* le scansioni della Risonanza Magnetica funzionale rivelano importanti modifiche del cervello nella fase presintomatica della MH. Potrebbe essere importante per le sperimentazioni Pre-MH. Dott.ssa Nellie Georgiou
- 11.02 - **Jeff:** mettete in discussione ciò che date per assodato. Steve Finkbein dice che cose che una volta ritenevamo dannose per i neuroni potrebbero in realtà proteggerli.
- 11.07 - *Ed:* le scansioni cerebrali hanno contribuito allo sviluppo di farmaci per malattie come il Parkinson e l'Alzheimer. Sono esperienze da cui possiamo imparare. Dott.ssa Rachael Scahill-
- 11.21 - *Ed:* i risultati di TRACK-HD indicano che i primi cambiamenti nei portatori della mutazione di MH possono trovarsi nelle connessioni della "sostanza bianca". Scahill
- 11.23 - **Jeff:** Danny Hatter ha costruito delle etichette che consentono agli scienziati di seguire la proteina huntingtina in giro nelle cellule viventi.
- 11.25 - *Ed:* altri risultati di TRACK-HD: il rimpiccolirsi di specifiche aree del cervello è legato al controllo del movimento. Anche questo può esserci d'aiuto nel testare farmaci- Scahill
- 11.28 - *Ed:* "Ci vuole un sacco di attività investigativa per ottenere misure abbastanza precise da rivelare l'effetto dei farmaci". Prof.ssa Julie Stout
- 11.38 - *Ed:* non siamo "troppo distanti" dall'essere in grado di scoprire gli effetti benefici dei farmaci sulle capacità cognitive dei portatori della mutazione MH- Stout
- 11.40 - **Jeff:** Bev Davidson lavora per sviluppare delle terapie "RNAi" che spengono la proteina huntingtina mutante.
- 11.42 - **Jeff:** Bev: Anche una riduzione parziale della huntingtina mutante ha effetti benefici nel topo con MH. Non abbiamo bisogno di "silenziarla" del tutto.
- 11.50 - *Ed:* i progetti TRACK-HD e "CAB" ci stanno fornendo un intero kit di test affidabili e significativi per studiare i problemi cognitivi nella MH. Stout

11.58 - **Jeff**: Bev si è occupata di testare il silenziamento “RNAi” nelle scimmie, un passo fondamentale per avviare sperimentazioni umane. I risultati mostrano effetti benefici.

12.04 - *Ed*: la MH coinvolge molti tipi di cellule, incluse quelle del sistema immunitario, non solo i neuroni. E' una malattia di tutto il corpo. Prof. Paul Muchowski del WHCD.

12.07 - **Jeff**: Ralf Reilmann e il TRACK-HD hanno sviluppato macchine per misurare i più sfumati problemi motori nella MH, ad esempio la forza della lingua.

12.11 - *Ed*: il farmaco inibitore RMO, agendo sulle cellule immunitarie ematiche, allunga la vita del topo con MH. Muchowski

12.12 - **Jeff**: Reilmann: sottili cambiamenti nel movimento si verificano presto nei portatori della mutazione di MH, prima della piena manifestazione sintomatica della malattia.

12.14 - *Ed*: Muchowski lavora anche su farmaci per colpire i recettori dei “cannabinoidi”(non esiste alcuna evidenza diretta che la marijuana migliori il pensare nella MH).

12.18 - *Ed*: i topi con MH prodotti attraverso l'ingegneria genetica in modo da essere privi di “CB2”, i recettori dei cannabinoidi, hanno prestazioni peggiori nei test della funzione motoria. Muchowski

12.21 - **Jeff**: Reilmann: le nuove macchine per misurare i sintomi motori della MH vengono già usate in una sperimentazione farmacologica umana in Europa.

12.22 - *Ed*: ultime notizie. Un farmaco che attiva i recettori CB2 migliora la funzione motoria e allunga la vita del topo con MH. Muchowski

12.23 - *Ed*: il farmaco attivatore di CB2 migliora persino i sintomi del topo in “fase terminale”. Muchowski

12.24 - *Ed*: sorprendentemente, il recettore CB2 non è stato trovato nel cervello, il che vuol dire che il farmaco CB2 può agire nel sangue, come l'inibitore KMO.

12.28 - *Ed*: colpire direttamente il sistema immunitario attraverso un anticorpo della molecola immunitaria di segnalazione IL6 produce benefici analoghi. Muchowski

12.47 - *Ed*: lavorando sul moscerino della frutta con MH, Juan Botas ha trovato modifiche del calcio. Ora sta lavorando sulle reti di dati per scoprire cosa possa voler dire per i pazienti.

13.52 - Ed riferisce ora sulla sessione “Ricerche di assistenza clinica”. Jeff riferisce sulla sessione “Scienza di base: sistemi e patologie periferici”.



Nessuno può gestire la MH da solo - ciò è vero sia per le persone a rischio sia per i professionisti. C'è bisogno di un gran team fin dall'inizio. Dott.ssa Martha Nance



13.55 - **Jeff:** Maria Bjorkqvist : la MH è una malattia dell'intero corpo, non solo del cervello. I pazienti hanno problemi con le ossa, con il grasso, con i muscoli e altri ancora

13.56 - **Ed:** regolari incontri educativi paziente/assistente migliorano l'ansia, l'umore, le capacità di affrontare i problemi e la qualità della vita nella MH. Prof. Raymund Roos -

14.00 - **Ed:** Roos: non dobbiamo sottrarci a temi complessi come l'assistenza di fine vita e il suicidio. Il silenzio è il nemico. Continuate a parlare.

14.03 - **Jeff:** Bjorkqvist: Attacchi cardiaci uccidono una vasta percentuale di pazienti MH. Questo potrebbe essere parte della malattia, non una coincidenza.

14.14 - **Jeff:** Richard Faull : le persone con MH hanno sintomi diversi che causano modelli diversi di perdita di cellule cerebrali.

14.16 - **Jeff:** Faull: la donazione di cervelli umani di pazienti MH è un regalo prezioso per gli scienziati che studiano la malattia.

14.27 - **Ed:** Dott. David Craufurd: disponiamo di buoni trattamenti per i problemi psichiatrici nella MH come la depressione, l'ansia e l'aggressività. Parlatene al vostro dottore!

14.47 - **Jeff:** George Rebec registra l'eccitazione delle cellule cerebrali di topo in stato di veglia e ha notato evidenti differenze nei modelli di eccitazione delle cellule nei topi con MH.

14.53 - **Ed:** le difficoltà a riconoscere le emozioni degli altri sono diffuse nei pazienti con MH più di quanto si pensasse. Izelle Labuschagne

15.17 - **Ed:** nessuno può gestire la MH da solo - ciò è vero sia per le persone a rischio sia per i professionisti. C'è bisogno di un gran team fin dall'inizio. Dott.ssa Martha Nance

15.20 - **Jeff:** William Yang- Lavora a costruire topi con huntingtina mutante in aree limitate del cervello per poter capire quali sono quelle importanti nella MH.

Gli autori non hanno conflitti di interesse da dichiarare Per ottenere più della informazione riguarda la nostra norma di divulgazione, leggi il nostro FAQ...

Glossario

Proteina huntingtina Proteina prodotta dal gene della MH.

Risonanza magnetica Una tecnica che utilizza potenti campi magnetici per produrre immagini dettagliate del cervello negli esseri umani e animali

Osservazionale Uno studio in cui le misurazioni sono fatte su volontari ma non é somministrato alcun farmaco sperimentale o trattamento

Terapie Trattamenti

KMO Chinurenina mono-ossigenasi, un enzima che controlla l'equilibrio di sostanze chimiche tossiche e protettive che derivano dalla degradazione delle proteine

© 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 09 Luglio 2017 — Scaricato da <https://it.hdbuzz.net/047>