

Новости об исследованиях болезни Гентингтона. На доступном языке. Написано исследователями. Для всех, интересующихся БГ.

## Новости с Конференции по проблемам терапии БГ - 2012: день третий



Наш обзор третьего дня работы Конференции по проблемам терапии болезни Гентингтона

Публикация Dr Jeff Carroll от 08 марта 2012

Под редакцией Dr Ed Wild; Перевод Dr Yury Seliverstov

Первоначально опубликовано 02 марта 2012

*Наш третий и заключительный выпуск ежедневных обзоров с Конференции по проблемам терапии болезни Гентингтона в Палм-Спрингс, Калифорния. Итоговую статью и интервью с конференции мы опубликуем в течение ближайших недель.*

### Вторник, 1 марта 2012 года

9:10 - **Крис Шмидт** (Chris Schmidt) работает в компании Pfizer, фармацевтическом гиганте, сотрудничающим с CHDI в области разработки новых препаратов для лечения БГ

9:23 - **Шмидт**: “Препараты, уже разработанные Pfizer для лечения других заболеваний и показавшие свою безопасность при применении у людей, могут быть полезны в лечении БГ”

9:45 - **Шмидт**: “Препараты, воздействующие на фермент фосфодиэстеразу (ФДЭ), хорошо работали при использовании на здоровых добровольцах и вполне могут быть полезны при использовании у пациентов с БГ”

9:59 - **Вахри Боумонт** (Vahri Beaumont) из CHDI возглавляет исследовательскую группу, тестирующую препараты Pfizer на мышинных моделях БГ с целью определения их эффективности при этом заболевании

10:01 - **Боумонт**: “Уже в раннем возрасте у мышей с БГ развиваются отчётливые изменения в клетках головного мозга. Коррекция этих ранних нарушений и является целью препаратов Pfizer”

10:06 - **Боумонт**: “При введении мышам с БГ веществ, разработанных Pfizer, функция поврежденных клеток головного мозга восстанавливалась до уровня здоровых клеток”



**Ладислав Мрзляк**: “Препараты, ингибирующие КМО, могут использоваться с целью восстановления баланса во взаимодействии между головным мозгом и иммунной системой”

10:30 - **Шмидт**: “Pfizer и CHDI планируют проведение клинических испытаний ФДЭ-препаратов. При удачном стечении обстоятельств подготовительная работа с пациентами начнётся в 2012 году. Стартует ли само испытание в 2013-м?”

10:33 - **Шмидт**: “Если всё пойдёт хорошо, то испытание препарата, ингибирующего ФДЭ 10го типа, продлится в течение двух лет”

11:07 - **Ладислав Мрзляк** (Ladislav Mrzljak) возглавляет исследовательскую группу в CHDI, работающую над созданием новых препаратов, ингибирующих кинуренин-монооксидазу (КМО); читайте нашу статью по ингибированию КМО для более подробной информации о целях и преимуществах этого метода лечения”

11:14 - **Мрзляк**: “Препараты, ингибирующие КМО, могут использоваться с целью восстановления баланса во взаимодействии между головным мозгом и иммунной системой”

11:38 - **Мрзляк**: “Самый перспективный ингибитор КМО компании CHDI проходит под рабочим названием CHDI-246. Он показал хорошие результаты в лабораторных тестах на свою химическую активность”

11:41 - **Мрзляк**: “Исследования CHDI-246 уже проводятся на двух типах модели болезни Гентингтона на мышах и крысах. Изучение действия препаратов на различных мышиных моделях помогает избежать ложноположительных результатов и допустить к исследованию на людях только самые безопасные и эффективные препараты”

12:01 - **Грэхэм Байлб** (Graham Bilbe) работает на фармацевтический гигант Novartis, занимающийся тестированием препарата мавоглюрант (Mavoglurant), который блокирует в головном мозге рецепторы к нейромедиатору глутамату

12:04 - **Байлб**: “Иногда необходимы десятилетия упорной работы для доказательства того, что препарат стоит испытания на людях”

12:07 - **Байлб**: “Считается, что чрезмерная активность глутаматергической системы имеет значение в течении многих заболеваний”

12:13 - **Байлб**: “Проанализировав развитие избыточных движений при приёме противопаркинсонических препаратов, в компании Novartis предположили, что блокаторы глутамата могут подействовать при БГ”

12:16 - **Байлб**: “Мавоглюрант показал свою эффективность в небольших исследованиях по болезни Паркинсона, и теперь планируется проведение более масштабных работ”

12:27 - **Байлб**: “Только что завершилось исследование компании Novartis по мавоглюранту в лечении двигательных расстройств при БГ, и в настоящее время



Недостаток фундаментальных знаний больше не является фактором, тормозящим разработку методов

проводится анализ полученной информации”

лечения БГ

14:14 - В CHDI на должность руководителя клинических исследований была приглашена **Кристина Сампайо**

(Christina Sampaio) - это очень хорошо, так как она имеет

богатый опыт по проведению клинических испытаний лекарственных препаратов



14:18 - **Сампайо**: “Чтобы достичь успеха в разработке лекарств против БГ, необходимо свернуть разработку препаратов, не прошедших испытания, и отказаться от проведения новых проектов по этим препаратам”

14:21 - **Сампайо**: “Мы не должны стараться проводить самые продолжительные и большие испытания, какие только возможно - небольших вполне достаточно”

14:41 - **Сампайо**: “Подходы к лечению других заболеваний могут помочь нам в терапии БГ - так, испытания препаратов интерферирующих РНК в лечении мышечной дистрофии Дюшенна помогают нам больше узнать об этой технологии”

14:48 - **Сампайо**: “Ближайшие клинические испытания, вероятнее всего, будут проводиться среди пациентов с уже развившимися проявлениями БГ, поскольку таким образом можно оценить эффект проводимого лечения”

14:50 - **Сампайо**: “Судя по опыту разработки методов лечения других заболеваний, может потребоваться использование нескольких терапевтических подходов в лечении БГ. И большое количество методик уже испытывается!”

14:57 - **Сара Табрици** (Sara Tabrizi) из Университетского колледжа Лондона со своей исследовательской группой завершила наблюдательное исследование TRACK-HD, которое продолжалось в течение трёх лет

14:58 - **Табрици**: “Недостаток фундаментальных знаний больше не является фактором, тормозящим разработку методов лечения БГ”

15:18 - **Табрици**: “По изменениям в головном мозге, выявляемым при проведении МРТ-исследования, можно судить о том, будут ли прогрессировать симптомы заболевания, поэтому клинические испытания должны включать проведение МРТ”

15:25 - **Табрици**: “Новая информация, полученная в течение трёх лет наблюдения за участниками исследования TRACK-HD, раскрывает детали патологических изменений при БГ, что может быть использовано при проведении клинических испытаний”

15:29 - **Табрици**: “Несмотря на изменения в головном мозге, имеющие место у носителей мутации БГ, в течение многих лет их состояние внешне может оставаться нормальным и компенсированным”

15:37 - **Табрици**: “Новое исследование TrackOn-HD будет посвящено изучению механизмов компенсации состояния у носителей мутации БГ при низком уровне нормального белка”

16:10 - **Марк Гуттман** (Mark Guttman) из Центра двигательных расстройств задаёт провокационный вопрос: “Когда начинают проявляться симптомы БГ?”

16:24 - **Гуттман**: “Врачи диагностируют начало БГ по появлению патологических движений. Очень часто трудно судить о начале заболевания только по этим симптомам. Многие пациенты с БГ и члены их семей сообщают о широком спектре двигательных проявлений болезни ещё до установления “официального” диагноза”

16:37 - **Гуттман** поставил вопрос о целесообразности включения комплекса этих проявлений в диагностические критерии, включая результаты МРТ-исследования. Одним из преимуществ этого является возможность начала раннего лечения - при успешности разработки лекарственных препаратов это может значительно улучшить состояние пациентов

16:40 - **Гуттман**: “Возможность осуществления этого в настоящее время проверяется группой из клиницистов, учёных и представителей пациентов”

16:58 - **Майкл Хейден** (Michael Hayden) из Университета Британской Колумбии: “Многие люди узнают о носительстве гена БГ уже после 60 лет, не зная до этого, что находятся в группе риска”

16:59 - **Хейден**: “Вследствие увеличения ожидаемой продолжительности жизни, многие люди доживают до возраста, когда начинают проявляться симптомы БГ”

17:00 - Термином “распространённость заболевания” учёные обозначают число людей, страдающих той или иной болезнью.

17:01 - **Хейден**: “Вполне возможно, что истинная распространённость болезни Гентингтона выше, чем считалось ранее”

17:03 - **Хейден**: “Повышение настороженности в отношении БГ привело к тому, что большее число людей, страдающих этим заболеванием, стало обращаться за медицинской помощью”

17:05 - **Хейден**: “Тщательный анализ данных в Британской Колумбии выявил, что распространённость БГ там в два раза выше, чем считалось ранее - как минимум, 1 случай на 6800 человек”



Симон Ноубл представляет новый логотип CHDI

17:06 - **Хейден**: “Это означает, что в Британской Колумбии из тысячи человек один имеет риск по БГ 25-50%”

17:16 - **Хейден**: “Эти новые данные говорят о том, что нам необходимо совершенствовать диагностику БГ и увеличивать финансирование служб по уходу за больными с БГ”

17:42 - **Симон Ноубл** (Simon Noble) представляет новый логотип CHDI - дерево, составленное из молекул, что символизирует семьи с БГ, объединение и взаимосвязь и новые лекарственные препараты!

18:02 - Редакторы HDBuzz **Джефф** и **Эд** рассказывают о данном проекте на Конференции

---

*Расходы по регистрационным взносам доктора Уайлда и доктора Кэролла за участие в Конференции по проблемам терапии БГ были любезно покрыты CHDI Inc., спонсором конференции, однако, посещение ими конференции осуществляется при поддержке HDBuzz и Европейской сети по БГ из фондов, независимых от CHDI. CHDI не имеет никакого отношения к написанию статей на HDBuzz по работе конференции. Для получения более подробной информации о политике распространения информации перейдите в наш раздел [ЧаВо...](#)*

---

© HDBuzz 2011-2018. Вся информация с HDBuzz может распространяться бесплатно с ссылкой на источник, согласно Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License. HDBuzz не является источником медицинских рекомендаций. Подробная информация - на сайте [hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

Сформировано 17 января 2018 — Загружено с <https://ru.hdbuzz.net/077>