A plantar árvores juntos: Convenção da Sociedade Americana da Doença de Huntington 2016

A HDBuzz sumariza a ciência da invulgarmente grande e energisada convenção HDSA em Baltimore.

Editado por Dr Jeff Carroll | **11 de Outubro de 2016** | **Escrito por Dr Jeff Carroll**

Traduzido por Antonio Azevedo | **Publicado originalmente a 13 de Junho de 2016**

Quase um milhar de membros de famílias DH convergiram em Baltimore, Maryland para a convenção anual da Sociedade Americana da Doença de Huntington 2016. Normalmente não escrevemos relatórios sobre as conferências de pacientes e familiares mas houve algo de especial no ambiente da convenção deste ano que nos compeliu a escrever uma breve atualização.

A convenção

Esta foi a segunda maior convenção da história da HDSA e os co-fundadores da HDBuzz Jeff e Ed estiveram lá para falar ciência. Pode ver um video da nossa apresentação no YouTube e ouvir o audio na mais recente edição do nosso podcast, HDBuzzCast. Muitas das outras apresentações podem ser encontradas no website da HDSA.

Ensaios Clínicos

De acordo com a publicação "HD Insights" do Grupo de Estudo Huntington, há atualmente **treze** ensaios clínicos a recrutar ou já a decorrer relativos à doença de Huntington, alguns dos quais estão a testar tratamentos especificamente desenhados com a DH em mente, em vez de fármacos que se pensa fazerem bem de forma mais geral ao cérebro. Este é um tempo incrível para as famílias DH.

A convenção de 2016 foi a segunda maior registada, com quase mil delegados que aqui encontra a ouvir Robert Pacifici da CHDI.

Dois ensaios que temos estado a acompanhar de perto tiveram atualizações importantes. O estudo da pridopidina Teva **PRIDE-HD**, o novo farmaco para tratar problemas de movimento da DH **completou o recrutamento**. O mesmo é verdade do estudo **Amaryllis** da Pfizer relativo ao seu fármaco inibidor da PDE-10 que procura melhorar a comunicação entre neurónios. O alcançar de um recrutamento eficiente para os ensaios clínicos são ótimas notícias e um testemunho da capacidade da comunidade DH em sobrepor-se aos desafios.

Contudo, não há espaço para complacência. Precisamos de fazer o recrutamento para todos os ensaios clínicos ativos tão rápido quanto possível. O estudo do Laquinimod da Teva, Legato-HD, por exemplo, está a estudar um fármaco que se espera poder abrandar a progressão da doença de huntington mas ainda precisa de **mais voluntários**. O mesmo é verdade para vários outros ensaios clínicos.

Boas notícias do ensaio clínico para "silenciamento de genes"

Ed Wild deu uma atualização sobre o ensaio clínico Ionis-HTTRx, o primeiro fármaco de "silenciamento de genes" ou "diminuição da quantidade de huntingtina" que alguma vez foi testado em pacientes DH humanos. Falando em nome do patrocinador Ionis Farmacêutica, Ed reportou que o ensaio clínico começou em setembro de 2015 e que há 5 centros clínicos onde já está a decorrer. Numa atualização exclusiva para a HDSA, ele anunciou que não houve problemas de segurança com o fármaco até agora, e que o comitê independente de seguranca do ensaio tinha acabado de aprovar o início do terceiro de quatro níveis de doseamento. Estas são as melhores notícias que poderíamos esperar nesta fase do ensaio. Ficamos ansiosamente à espera de novas atualizações.

Onde me posso inscrever?

Como é que pessoas afetadas pela DH podem participar em ensaios clínicos? Nos Estados Unidos e Canadá a resposta é o sistema da HDSA "Trialfinder"(encontrador de ensaios clínicos). Insere algumas informações básicas e num minuto pode ver uma lista

customizada dos estudos para os quais pode ser elegível na sua área, com hiperligações para as equipas de investigação.

E se eu não sou elegível?

Pode ser difícil entrar em ensaios clínicos porque cada um tem critérios rígidos para quem é e não é elegível. Se verificar que não há nenhum ensaio clínico em que possa participar próximo de si não perca ânimo. Aqui está o nosso plano de 3 passos para encontrar outras formas de contribuir.

> **«Precisamos de completar o recrutamento para todos os ensaios clínicos ativos tão rápido quanto possível. »**

1. **Inscreva-se no Enroll-HD**, uma plataforma para compreender melhor a DH e uma base de dados para o recrutamento em ensaios clínicos futuros. Virtualmente todos os membros de famílias DH são elegíveis, até pessoas que não fizeram teste genético.
2. **Seja um braço direito dos ensaios clínicos**: passe a palavra sobre os ensaios clínicos e investigação nas redes sociais e em pessoa a amigos e familiares. Pode voluntariar-se e ajudar outras pessoas a participar nos ensaios clínicos, acompanhado-as a consultas e ajudando-as a completar as atividades dos ensaios?
3. **Participe em estudos observacionais** - são investigação sobre a DH que não envolve testar novos tratamentos. Estes estudos são essenciais porque ajudam a desenvolver uma nova geração de tratamentos e ensaios clínicos.

Inovação

Embora a Convenção da HDSA não seja um encontro científico ficámos surpreendidos pela quantidade e qualidade dos novos projetos inovadores de que ouvimos lá falar.
Gostaríamos de destacar:

- A **Fundação CHDI** estabeleceu uma colaboração com a plataforma supercomputador Watson da IBM para compreender melhor a DH, por exemplo criando modelos da proteína huntingtina e de como esta é afetada pela mutação da DH.
- Ouvimos diretamente do Dr. David Stamler da farmacêutica Teva sobre como esta pretende continuar empenhada em obter licença da **SD809** para a DH. A SD809 é uma forma de tetrabenazina de ação retardada para tratar os problemas de movimento em DH sobre a qual a FDA recentemente pediu mais informações. Stamler não deixou margem para dúvidas: “A FDA não rejeitou a candidatura (à licença)… ela pediu apenas mais informações adicionais e analises… A agencia não levantou preocupações com a segurança (da toma do fármaco) …A Teva está a fazer tudo em seu poder para trazer este medicamento para o mercado tão rápido quanto possível.”
- O ensaio clínico “STAIR” da farmacêutica Azevan, que procura determinar se o seu farmaco SRX246 poderá ajudar com o comum e muito desafiante sintoma da

irritabilidade em DH.

- A Wave Ciências da Vida, que procura contactar desde cedo com a comunidade DH para falar sobre os seus programas para o desenvolvimento de novos fármacos de "silenciamento de genes". Estes têm em vista a diminuição da produção da proteína huntingtina mutada. A abordagem da Wave pretende tirar partido de uma particularidade da química. A maior parte dos fármacos são uma mistura de versões 'normais' e 'imagem espelho' do mesmo fármaco que têm a mesma estrutura básica mas que se podem comportar de uma forma ligeiramente diferente. A Wave espera que eliminando as versões 'imagem espelho' os seu fármacos de silenciamento sejam mais poderosos. Se isto funcionar será excelente.

Plantar Árvores

No nosso habitual apanhado da investigação discutida, comparámos a investigação em DH com uma árvore, contrariamente à comparação com um diagrama sequencial de que poderá já ter ouvido falar.

No nosso apanhado da investigação discutida, encorajámos todos os membros de famílias DH a fazerem tudo que podem para apoiar todas as partes da "árvore" da investigação em DH.

As raízes da árvore são a comunidade DH global; o tronco é a investigação 'básica' de laboratório que acontece todos os dias e que ajuda a que novos fármacos continuem a surgir; os ramos são a investigação observacional envolvendo voluntários humanos que nos ajuda a compreender melhor a DH e a desenvolver novos fármacos; e as folhas são os ensaios clínicos que nos permitem testar esses fármacos.

Gostamos desta imagem porque todas as partes da árvore estão interconectadas e dependem umas das outras para produzir os frutos de que todos precisamos: tratamentos eficazes para a doença de Huntington. Todos na comunidade DH têm a responsabilidade de olhar por cada pequena parte da árvore se queremos este tratamentos tão cedo quanto possível.

A nossa apresentação acabou com um provérbio chinês:

A melhor altura para plantar uma árvore é há vinte anos atrás. A segunda melhor altura é hoje.

Ed Wild é um investigador nos ensaios clínicos Legato, Amaryllis e HTTRx. Realizou trabalho de consultoria remunerado para as farmacêuticas Ionis, Shire e Roche, tendo todos os pagamentos sido encaminhados para o seu empregador UCL para ajudar a financiar a sua investigação em DH. Este artigo foi escrito e editado por Jeff Carroll que tem uma colaboração cientifica de longa data com a farmacêutica Ionis, mas que não tem nenhum conflito de interesses em quaisquer dos tópicos aqui discutidos. Para mais informações sobre a nossa política de divulgação, veja a nossa FAQ...

GLOSSÁRIO

Silenciamento de genes Uma abordagem ao tratamento da DH que utiliza moléculas-alvo para dizer às células para não produzirem a proteína huntingtina nociva

proteína huntingtina A proteína produzida pelo gene da DH

Ensaio clínico Experiências, planeadas com todos os cuidados, que são desenhadas de forma a responder a questões específicas sobre como um fármaco afeta seres humanos.

observacional Um estudo em que as avaliações ou medidas são feitas em voluntários humanos mas em que não são aplicados quaisquer fármacos ou tratamentos experimentais

© HDBuzz 2011-2024. Os conteúdos do HDBuzz são de partilha livre, sob uma Licença Creative Commons Atribuição-Compartilhalgual 3.0 Não Adaptada .
O HDBuzz não é um recurso de aconselhamento médico. Para mais informações, visite hdbuzz.net
Criado a 06 de Janeiro de 2024 — Descarregado de https://pt.hdbuzz.net/219

Parte do texto desta página ainda não foi traduzido. É mostrado no idioma original. Estamos a trabalhar para traduzir todos os conteúdos o mais brevemente possível.