

# HUNTINGTON-KURIER

Deutschsprachige Informationsschrift der Huntington-Selbsthilfe



© GHI und HD-Insights

**HD GeneTRX2 uniQure**

**Erste Huntington Gentherapiestudie in Deutschland**

**GEORGE HUNTINGTON INSTITUT**

**hhu**  
Heinrich Heine Universität Düsseldorf

*Forschung ist die Fortsetzung der Neugier mit anderen Mitteln.*

*Prof. Dr. Hans-Jürgen Quadbeck-Seeger,\*1939,  
deutscher Chemiker und  
Mitglied der Enquête-Kommission für Gentechnik  
im Deutschen Bundestag*



### Geschäfts- und Beratungsstelle

Falkstraße 73-77, 47058 Duisburg  
Bürozeiten: Mo. bis Do. 8:00 bis 16:00 Uhr  
Tel.: 0203 22915, Fax: 0203 22925  
E-Mail: [dhh@dhh-ev.de](mailto:dhh@dhh-ev.de)  
Internet: <https://www.dhh-ev.de>  
<https://www.facebook.com/Huntingtonhilfe>

### Fachberatung in sozialen Fragen

z. B. Hilfestellung beim Umgang mit Behörden  
Ansprechpartner: Jürgen Pertek  
E-Mail: [jp@dhh-ev.de](mailto:jp@dhh-ev.de)

### Mitgliederverwaltung

Ansprechpartnerin: Antonia Hüning  
E-Mail: [a.huening@dhh-ev.de](mailto:a.huening@dhh-ev.de)

### Huntington-Telefon

In dringenden Fällen erreichen Sie  
Herrn Dr. med. Herwig W. Lange unter Tel.: 0171 2411288

### Vorstand

#### Vorsitzende

Michaela Winkelmann  
Luckenstr. 28, 70794 Filderstadt, Tel.: 0711 50422172  
E-Mail: [m.winkelmann@dhh-ev.de](mailto:m.winkelmann@dhh-ev.de)

#### Stellvertretender Vorsitzender

Jochen Maier  
Lerchenweg 3, 89180 Berghülen, Tel.: 07344 917434  
E-Mail: [jochen.maier@dhh-ev.de](mailto:jochen.maier@dhh-ev.de)

#### Schatzmeisterin

Hannelore Ulrich  
Moldastr. 10, 76149 Karlsruhe, Tel.: 0721 704564  
E-Mail: [h.ulrich@dhh-ev.de](mailto:h.ulrich@dhh-ev.de)

#### Beirat

Mitch Binder, Vertreter der Betroffenen,  
Sonja Sgobbo, Vertreterin für Menschen mit Huntington-Risiko  
Sylvia Pasioka, Vertreterin der Angehörigen  
Lisa-Sophie Friedrich, Vertreterin der Jugendlichen  
Dr. Friedmar R. Kreuz, Vertreter der medizinischen Berufe  
Gabriele Ritter, Vertreterin der medizinischen Hilfsberufe

#### Wissenschaftlicher Beirat

PD Dr. Andrich (Feldberg), Prof. Dr. Dose, Sprecher (München),  
PD Dr. Zacharias Kohl (Regensburg) PD Dr. Kraus (Bochum),  
Dr. Kreuz (Dresden), Prof. Dr. Landwehrmeyer (Ulm), Dr. Lange  
(Dinslaken), Prof. Ludolph (Ulm), Dr. Mühlbäck (Kraiburg am  
Inn), Prof. Dr. Nguyen (Bochum), Univ.-Prof. Dr. Reetz (Köln),  
Dr. Reilmann (Münster), Dr. Rieder (Düsseldorf), Prof. Dr.  
Saft (Bochum), Ao. Univ.-Prof. Dr. Seppi (Innsbruck), Prof.  
Dr. Storch (Rostock), Dr. Tadic (Lübeck), Prof. Dr. Weindl  
(München), PD Dr. Patrick Weydt (Bonn)

#### Redaktion

Carmen Vogel, verantwortliche Redakteurin  
Dr. Ralf Reilmann, wissenschaftlicher Redakteur  
Gabriele Stautner, artifax.com, Layout  
Abb. Titelseite: GHI und HD-Insights

### Landesverbände

#### LV Bayern

c/o Roswitha Moser  
Josef-Schauer-Straße 6, 82178 Puchheim-Bhf.  
Tel.: 0177 834 68 01  
E-Mail: [lv-bayern@dhh-ev.de](mailto:lv-bayern@dhh-ev.de)

#### LV Berlin-Brandenburg

c/o Andreas Schmidt  
Tel.: 030 6015137  
E-Mail: [a.schmidt@dhh-ev.de](mailto:a.schmidt@dhh-ev.de)

#### LV Hessen

c/o Thomas Rauch  
Otto-Stoelcker-Str.12c, 77955 Ettenheim  
Tel.: 01520 5328780  
E-Mail: [dhhlandesverbandhessen@gmail.com](mailto:dhhlandesverbandhessen@gmail.com)

#### LV Mitteldeutschland

c/o Jörg Hellwig  
Johannes-Schlaf-Str. 1, 06268 Querfurt  
Tel. 034771 24802 oder 01712663329  
E-Mail: [dhhmd01@freenet.de](mailto:dhhmd01@freenet.de)

#### LV Norddeutschland

c/o Heinz-Jürgen Brosig  
Ansgarstraße 3, 25524 Itzehoe  
Tel.: 04821 6049796,  
E-Mail: [hj.brosig@dhh-ev.de](mailto:hj.brosig@dhh-ev.de)

#### LV Nordrhein-Westfalen

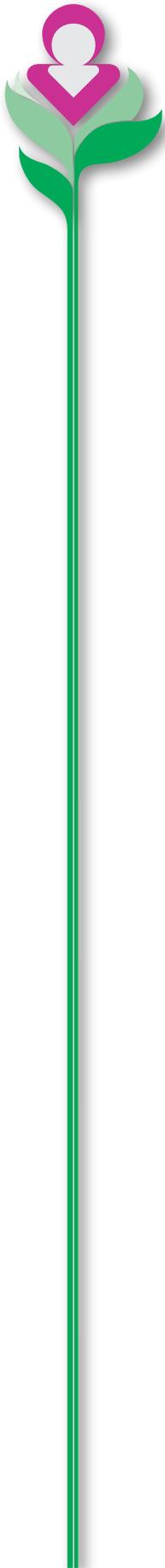
c/o Richard Hegewald  
Goslarer Str. 49  
47259 Duisburg  
Tel.: 0203 7579909  
E-Mail: [r.hegewald@dhh-ev.de](mailto:r.hegewald@dhh-ev.de)

### Österreichische Huntington-Hilfe

c/o Doris u. Kurt Zwettler  
Sibeliustr. 9/3/35,  
A-1100 Wien, Österreich  
Tel./Fax: +43 (0) 1 6150265  
E-Mail: [SHG-Huntington-Wien@gmx.at](mailto:SHG-Huntington-Wien@gmx.at)  
[www.huntington.at](http://www.huntington.at)  
Ansprechpartner in Kärnten, Oberösterreich (Linz),  
Salzburg, Tirol, Vorarlberg, Wien  
s. Kontaktpersonen

### Schweizerische Huntington Vereinigung

Sekretariat: Ursula Schnell  
Hornweid 29J  
CH-3038 Trimstein, Schweiz  
Tel. +41 (0) 44 552 06 02  
E-Mail: [info@shv.ch](mailto:info@shv.ch)  
[www.huntington.ch](http://www.huntington.ch)



Wichtige Anschriften .....2

Inhalt .....3

Editorial .....4

DHH-Termine .....5

Neue regelmäßige Online-Treffen .....5

Herzlich Willkommen bei DHH Family & Kids .....5

DHH-Teens .....6

Hilfe gesucht und neue Freude gefunden .....6

DHH-Jahreskalender 2022 .....7

Huntington im Radio & Podcast: Das Leben mit Huntington .....7

Einladung zur Mitgliederversammlung am Samstag 25. September 2021 .....8

Finanzielle Hilfe für Huntington-Familien in der Corona-Krise ..... 10

DVD mit Tanzübungen für zuhause ..... 10

Podcast und ich.....11

uniQure Gentherapiestudie beginnt in Deutschland .....12

Generation-HD1 Studie von Roche stoppt Behandlung mit Tominersen ..... 18

Telegramme aus der Wissenschaft ..... 25

HD BUZZ: Neues aus der Huntington-Forschung – auf Deutsch – ..... 26

Die Huntington-Krankheit – eine Herausforderung (auch) für Psychotherapeuten ..... 27

DHH Online-Seminare zum Stopp von Tominersen bzw. der ASO-Dosierungen ..... 28

4. Angehörigenwochenende der Deutschen Huntington-Hilfe ..... 28

Huntington-Ratgeber und Webseite Huntington-Info – nicht nur für Österreich ..... 29

Aktivitäten des Landesverbandes Berlin-Brandenburg im Frühjahr..... 30

Huntington-Selbsthilfe NRW – Was war, was wird? ..... 32

Häufige Fragen an die DHH-Geschäftsstelle..... 33

Huntington-Kurier per E-Mail ..... 35

Spendenbutton auf der DHH-Homepage ..... 35

Spenden ..... 35

Zuwendungsbescheide ..... 35

Adressenänderungen ..... 35

Informationsmaterial ..... 36

Huntington-Zentren in Deutschland ..... 37

Kontaktpersonen ..... 38

Selbsthilfegruppen..... 39

Impressum ..... 40



Foto: Richard Hegewald

### **Liebe Mitglieder, Freunde und Förderer der Deutschen Huntington-Hilfe,**

auch wenn sich die Pandemie gefühlt ewig in die Länge zieht und die Tage sich in Zeiten mit Kontaktbeschränkung oft gleich anfühlen, gibt es doch auch schöne Ereignisse: Sei es ein überraschendes Telefongespräch, eine positive Nachricht per Mail oder einfach ein freundliches Wort oder hilfreiche Geste beim Einkaufen.

Leider gab es für uns als Huntington-Gemeinschaft in den letzten Wochen unerwartete und negative Nachrichten zu den drei Studien von Roche und Wave, die mich persönlich geschockt haben. Ich brauchte einige Tage um zu verstehen, was der überraschende Stopp der Behandlung mit Tominersen bedeutet. Seit Beginn der Studie war die Euphorie groß und unsere Erwartungen hoch, denn wir waren noch nie so weit bei der Erforschung eines Wirkstoffes, der das Fortschreiten der Huntington-Krankheit verlangsamen kann. Die Zulassung war gefühlt zum Greifen nah – natürlich unter der Voraussetzung, dass die Daten der Studie das belegen. Die Daten zeigten aber leider etwas anderes und holten mich auf den Boden der Tatsachen zurück. Generation HD 1 ist eine Studie, um die Wirksamkeit von Tominersen bei Huntington-Betroffenen festzustellen. Phase 3 Studien werden durchgeführt, um die Wirksamkeit zu belegen oder zu widerlegen. Somit können Studien auch zu negativen Ergebnissen führen. Das Ende der Dosierungen mit dem Studienwirkstoff und die damit verbundene Konsequenz, dass es zu keiner Zulassung kommen wird, sind natürlich bitter. Umso dankbarer bin ich für all diejenigen, die füreinander da sind, um aufzuklären, ein offenes Ohr haben und nach vorne blicken. Trotz dieses negativen Ergebnisses werden wir aus dieser Studie sehr viel lernen und Folgerungen

ziehen können. Unsere Huntington-Gemeinschaft ist stark und die Forscher\*innen sind auch weiterhin weltweit aktiv. Der Stopp ist ein Rückschlag. Wir verlieren Zeit, aber weder den Mut noch die Zuversicht und unseren Zusammenhalt! Aus diesem aktuellen Anlass stehen in diesem Kurier die wissenschaftlichen Themen im Vordergrund. Ein herzliches Dankeschön an Dr. Ralf Reilmann, der sehr ausführlich erläutert, was in den Studien passierte und was das bedeutet. Zum Glück stehen auch weitere Studien an, auch darauf geht Dr. Reilmann ausführlich ein. Nehmen Sie sich die Zeit, auch diese Passagen in Ruhe zu lesen. Es lohnt sich. Und wie immer, melden Sie sich bitte bei Fragen in Ihrem Huntington-Zentrum oder bei der Deutschen Huntington-Hilfe. Wir sind füreinander da! Gerade auch in der aktuellen Zeit ist es wichtig diesen Zusammenhalt zu leben.

Aufgrund der aktuellen Corona-Regeln können unsere Gruppentreffen auch weiterhin nur eingeschränkt oder als "Online-Meeting" stattfinden. Da wir aktuell nicht wissen, ob im September Treffen wieder "wie früher" stattfinden können, planen wir in 2021 unsere Jahrestagung – wie schon im letzten Jahr – als hybride Veranstaltung. Die Einladung hierzu, das geplante Programm und die Hinweise zur Anmeldung finden Sie in dieser Ausgabe des Huntington-Kuriers und auf unserer Internetseite unter <https://dhh-ev.de/hybride-dhh-mitgliederversammlung>.

Ich möchte dieses Editorial mit einem positiven Ausblick beschließen, denn die guten Fortschritte beim Impfen und die Entwicklungen der Inzidenzen bei der Corona-Pandemie lassen mich aufatmen und optimistisch auf die nächsten Monate blicken.

Ich wünsche uns allen einen schönen Sommer.

Herzliche Grüße  
Ihre Michaela Winkelmann

## DHH-Termine



### 5. bis 11. August 2021, Langeoog

Resilienz-Tage für Huntington-Betroffene und Angehörige aus dem DHH Landesverband-Nord im Haus Meedland auf Langeoog  
 Infos: Carmen Vogel,  
[huntington-bremen@dhh-ev.de](mailto:huntington-bremen@dhh-ev.de)

Von der Anordnung zur Reduzierung von Kontakten aufgrund der Corona-Pandemie sind auch die Treffen der DHH betroffen. Erkundigen Sie sich bitte bei den Ansprechpersonen, ob die Termine stattfinden.

### 9. bis 11. September 2021, Online

EHDN 2021 Remote Meeting  
 Infos: [www.ehdn.org/news-events](http://www.ehdn.org/news-events)

### 24. bis 25. September 2021, Duisburg/online

Hybride DHH-Mitgliederversammlung  
 Infos: DHH Geschäfts- und Beratungsstelle, [dhh@dhh-ev.de](mailto:dhh@dhh-ev.de)

## Neue regelmäßige Online-Treffen

### Junge Aktive

jeden zweiten Donnerstag,  
 20 bis 21:30 Uhr,  
 Anmeldung: [jugend@dhh-ev.de](mailto:jugend@dhh-ev.de)

### Junge Leute (bis 35 Jahre)

jeden zweiten Sonntag, 19 bis 20:30 Uhr,  
 Anmeldung: [ich-bin-dabei@dhh-ev.de](mailto:ich-bin-dabei@dhh-ev.de)

### Angehörige/Partner\*innen

jeden ersten Freitag im Monat,  
 19 bis 21 Uhr, Anmeldung:  
[m.winkelmann@dhh-ev.de](mailto:m.winkelmann@dhh-ev.de)



## Herzlich Willkommen bei DHH Family & Kids

### Hallo Zusammen!

Ihr habt Kinder zwischen 0 und 13 Jahren?

Und seid auf der Suche nach anderen Huntington-Familien?

Ihr habt Fragen und wollt Euch zu Themen rund um Huntington in der Familie austauschen?

Dann seid Ihr bei uns genau richtig.

Unser Motto lautet:

“Gemeinsam aktiv & für einander da sein!”

Wir können uns zwar im Moment nicht persönlich treffen, doch das macht nichts.

Unsere Treffen finden zurzeit alle online statt.

Ihr erreicht uns per E-Mail unter: [family-and-kids@dhh-ev.de](mailto:family-and-kids@dhh-ev.de)

oder mobil unter: 0176 38737743 (Sonja Sgobbo)

Wir freuen uns auf Euch.

# DHH-Teens

## Seid dabei!

Ihr kennt uns noch nicht? Kein Problem. Wir stellen uns gerne vor. Wir sind zwischen 13 und 18 Jahren. Auch in unseren Familien ist jemand an Huntington erkrankt. Bei uns in der DHH gibt es für Erwachsene aus Huntington-Familien viele Selbsthilfegruppen und Angebote.

Und das möchten wir auch so für uns Teens. Wir möchten miteinander reden. Hören was Ihr so erlebt. Wie es Euch geht. Uns austauschen und Tipps geben. Einfach füreinander da sein. Und was uns ganz wichtig ist, gemeinsam etwas mit Euch und Euren Familien unternehmen, beispielsweise:

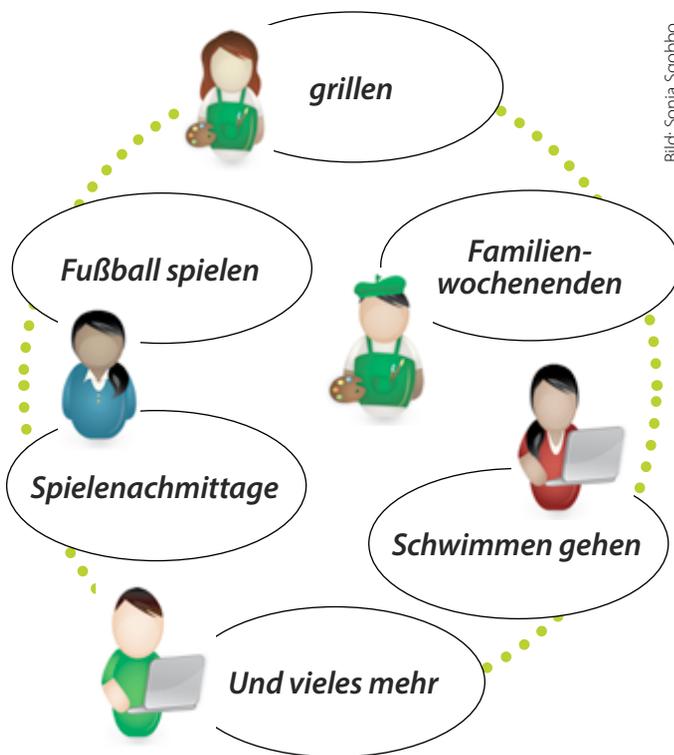


Bild: Sonja Sgobbo

## Und was möchtet Ihr gerne mit uns zusammen machen?

### Oder braucht Ihr Rat und Hilfe?

Dann schreibt uns unter: [family-and-kids@dhh-ev.de](mailto:family-and-kids@dhh-ev.de) oder meldet Euch per Telefon: 0176 38737743 (Sonja)

Wir freuen uns auf Euch.  
Bis bald!

Sonja & die DHH-Teens



Foto: Sonja Sgobbo

Lutz und Mine, die Stars aus dem Sockenfilm

## Hilfe gesucht und neue Freude gefunden

### Wie ich zu den DHH-Teens kam

Früher, als ich mit der Krankheit meines Vaters aufgewachsen bin, habe ich mir keine wirklichen Gedanken darüber gemacht, was die Krankheit in Zukunft bedeuten wird, ich habe es einfach so hingenommen.

Später, als ich 9 Jahre alt wurde, habe ich die Krankheit Huntington erst richtig wahrgenommen.

Ich stellte meiner Mutter viele Fragen, die mir auch beantwortet wurden, doch dies hatte mir nicht gereicht. Ich wollte ein Kind in meinem Alter kennenlernen, das in einer ähnlichen Situation ist. Wir sind mit dem Herzen dabei. Also sprach ich mit meiner Mutter darüber. Sie suchte sehr lange. Mama hatte zwar viele Gruppen gefunden, diese erzählten entweder ihren Kindern nicht von Huntington oder man redete nur über die Krankheit, was ja auch nicht so schön ist. Nach langem Weitersuchen traf sie auf Sonja. Sonja kannte eine Familie. Sie gab uns die Nummer.

Ich begann mit dem Mädchen in meinem Alter Kontakt aufzunehmen. Am Anfang war es noch sehr komisch, mit einer fremden Person zu reden.

Doch wir wurden schnell sehr gute Freunde. Wir telefonierten oft, skypten und schickten uns Pakete. Doch leider haben wir uns immer noch nicht live getroffen. Das liegt sicher daran, dass wir fast 7 Stunden Autofahrt voneinander weg wohnen. Hoffentlich treffen wir uns bald mal.

Und in der Zwischenzeit telefonieren wir noch unendlich viele Male!

Malia (13 Jahre)



Foto: Malia

Wir sind mit dem Herzen dabei



## DHH-Jahreskalender 2022

### Erinnerung: Senden Sie uns Ihre Bilder

Seit dem Jubiläumsjahr 2020 gibt es einen DHH-Wandkalender mit Bildern und Zeichnungen aus Huntington-Familien. Das in den letzten beiden Jahren eingereichte Bildmaterial und die Geschichten dazu haben uns motiviert, auch für 2022 einen Kalender herauszubringen.

Wer will Therapeutisches Zeichnen oder Kreatives Gestalten ausprobieren oder hat es schon getan und davon Kunstobjekte im Keller oder an der Wand? Wer ist künstlerisch begabt und kann Gedanken und Gefühle in Öl, Acryl oder

Aquarell auf Papier bringen und ist bereit, ein Foto dieses Bildes mit Erläuterung für den Kalender bereitzustellen? Vielleicht ist gerade jetzt die Zeit, um künstlerisch aktiv zu werden.

Bitte schicken Sie Ihr Bild (Zeichnung jeder Art oder Fotografien Ihrer Kunstobjekte) sowie Ihre Geschichte zu dem Bild per Mail an [m.winkelmann@dhh-ev.de](mailto:m.winkelmann@dhh-ev.de). Jeder Beitrag ist willkommen!

Michaela Winkelmann

## Huntington im Radio & Podcast: Das Leben mit Huntington

Nach den beiden Mixed Advisory Boards mit Roche im Jahr 2020 hat sich u. a. die Arbeitsgruppe (AG) Disease Awareness gegründet. Ziele dieser AG sind Huntington-Familien Mut zu machen und darüber zu informieren, wo sie Informationen erhalten können und mehr Familien als bisher zu erreichen. Insbesondere sollte der Huntington-Öffentlichkeitsmonat Mai hierzu genutzt werden.

So entstand ein Podcast mit Dr. Christian Sass (ASKLEPIOS Klinik Hamburg-Harburg) beim Hamburger Abendblatt. Es wurde eine intensive Recherche gestartet, welche Institutionen bereit sind, bei der Beleuchtung für Huntington mitzumachen und eine Pressemeldung wurde herausgegeben. Daneben entstand die Idee, einen Radiobeitrag zu erstellen, um viele Menschen zu erreichen. Wir sammelten Botschaften, die uns wichtig sind.

Mit der großartigen und großzügigen Unterstützung der Roche Pharma AG entstand ein Beitrag zur Huntington-Krankheit, der im Mai deutschlandweit im Radio ausgestrahlt wurde, um auf die seltene und schwere Erbkrankheit aufmerksam zu machen.

Begleitend dazu erschien der Podcast: "Das Leben mit Huntington – Die Krankheit trifft Familie, Freunde und das ganze Umfeld". Mediacast Deutschland war hierzu im Gespräch mit drei Gästen: Bernhard, der seit 15 Jahren an Huntington erkrankt ist, Anne, die das Risiko in sich trägt, dass die Krankheit im Laufe ihres Lebens ausbricht, und Michaela Winkelmann, der Vorsitzenden der Deutschen Huntington-Hilfe.

### Hören Sie mal rein:

- Radiospot „Das Leben mit Huntington“: <https://youtu.be/8ExWkmahU5Q>
- Podcast „Das Leben mit Huntington“: [https://youtu.be/\\_SqTAS-bOrGw](https://youtu.be/_SqTAS-bOrGw) bzw. <https://open.spotify.com/show/2hf3ZlcBchvt2ZIVHBwYQs?si=jfSypjSqQoGberCRmitU0g>



Bildrechte: Pixabay

*Das Leben mit Huntington – Die Krankheit trifft Familie, Freunde und das ganze Umfeld*

- Podcast "Huntington versteckt sich gut" mit Dr. Christian Saß beim Hamburger Abendblatt: <https://www.abendblatt.de/podcast/die-digitale-sprechstunde/article231970587/Huntington-versteckt-sich-gut.html>

Nochmal vielen Dank an Anne und Bernhard für den Mut, die Offenheit und Bereitschaft, Eure Huntington-Geschichten zu teilen. Und an Dr. Christian Saß für den tollen und informativen Podcast im Hamburger Abendblatt. Sowie allen der AG Awareness für das großartige Ergebnis, darauf können wir sehr stolz sein!

Michaela Winkelmann

# Einladung zur Mitgliederversammlung am 25. September 2021

**Liebe Mitglieder, liebe Freundinnen und Freunde,**  
hiermit laden wir Sie herzlich zur diesjährigen Mitgliederversammlung (MGV) am Samstag, 25. September 2021 von 10 bis ca. 12:30 Uhr ein. Unsere Versammlung wird wieder hybrid stattfinden, d. h. sowohl online als auch in der Jugendherberge Duisburg Sportpark. Vor Ort sind die Corona-Regeln (Abstand, Maskenpflicht) einzuhalten. Ab 14 Uhr wird es ein Online-Seminar mit Prof. Dr. Bernhard Landwehrmeyer und Prof. Dr. Carsten Saft zu Neuigkeiten aus der Forschung geben.

Für Mitglieder ist die Teilnahme als Tagesgast inkl. Verpflegung vor Ort kostenlos; Nicht-Mitglieder zahlen 20 Euro. Die online Teilnahme ist für alle kostenlos.

Senden Sie bitte Ihre Anmeldung auf dem beigefügten Anmeldeformular an die Geschäfts- und Beratungsstelle der DHH. Übernachtung von Freitag auf Samstag ist möglich. Etwa drei Wochen vor der Veranstaltung senden wir Ihnen einen Infobrief mit weiteren Hinweisen zur Teilnahme, zur Einwahl und den Möglichkeiten zum Testen der Technik. Wir unterstützen Sie hierbei wieder.

Wir freuen uns sehr, dass wir unseren Mitgliedern in diesem Jahr erneut die Mitgliederversammlung "mit online-Abstand" bzw. eine Präsenzveranstaltung im kleinen Kreis ermöglichen können.

Bis bald (in Duisburg).

Ihr DHH-Vorstand

Michaela Winkelmann, Jochen Maier und Hannelore Ulrich

## Vorläufige Tagesordnung der Mitgliederversammlung

1. Begrüßung durch den Vorstand, Feststellung der Beschlussfähigkeit, Bestellung eines Protokollführers, Gedenken der Verstorbenen
2. Bericht des Vorstands: Rechenschaftsbericht der Vorsitzenden, Bericht des stellvertretenden Vorsitzenden, Bericht der Schatzmeisterin: Kassenbericht, Finanzentwicklung
3. Bericht der Rechnungsprüferinnen
4. Vorstellen des Haushaltsplanes 2022
5. Aussprache zu den Berichten, Diskussion des Haushaltsplanes 2022
6. Vorstellung der Kandidat\*innen für die Wahl\*
7. Abstimmungen:
  - Entlastung des Vorstandes
  - Genehmigung des Haushaltsplanes 2022
  - Wahlen
8. Berichte der Landesverbände
9. Tagungsort und Termine 2022
10. Sonstiges\*

*\* bei Bedarf*

## Vorläufiges Programm

### Freitag, 24. September 2021

- |           |  |
|-----------|--|
| 18:00 Uhr | Abendessen*  |
| 19:00 Uhr | Generalprobe für<br>Hybride Mitgliederversammlung<br>anschließend Austausch* |

### Samstag, 25. September 2021

- |               |  |
|---------------|--|
| ab 7:30 Uhr   | Frühstück, Räumen der Zimmer*  |
| 10:00 Uhr     | Hybride Mitgliederversammlung  |
| ca.11:00 Uhr  | Kaffeepause, anschließend<br>Fortsetzung der<br>Mitgliederversammlung  |
| 12:30 Uhr     | Ende der Mitgliederversammlung,<br>Mittagessen   |
| 14:00 Uhr     | Online-Seminar:<br>Neues aus der Wissenschaft mit<br>Prof. Dr. Bernhard Landwehrmeyer,<br>Prof. Dr. Carsten Saft |
| ca. 15:00 Uhr | Kaffeepause  |
| 16:00 Uhr     | Ende der Veranstaltung   |

*\* nur für Übernachtungsgäste*

## Anmeldung zur Mitgliederversammlung am Samstag, 25.9.2021

Anmeldeschluss: 31. August 2021

Senden Sie Ihre Anmeldung per E-Mail an [dhh@dhh-ev.de](mailto:dhh@dhh-ev.de) oder per Post an:

Deutsche Huntington-Hilfe e.V. Geschäfts- und Beratungsstelle Falkstraße 73-77 47058 Duisburg
--

Anmeldung erfolgt durch:

Name: \_\_\_\_\_

Straße: \_\_\_\_\_

PLZ Ort: \_\_\_\_\_

E-Mail: \_\_\_\_\_

Hiermit melde ich folgende Person(en) an:

Mitgliedsnummer (falls Mitglied)	Name	Vorname	E-Mail

Teilnahme:  online oder

vor Ort als Tagesgast am Samstag oder

vor Ort mit Übernachtung (von Freitag auf Samstag)

mit Abendessen am Freitag um 18 Uhr oder  Vesper bei späterer Anreise

Sonstiges (z. B. besondere Kost/Allergien):

Die Teilnahmegebühr (Mitglieder: Übernachtung 20 €, EZ-Zuschlag 10 €, Tagesgast: frei, online: frei; Nicht-Mitglieder: Übernachtung 35 €, EZ-Zuschlag 15 €, Tagesgast 20 €, online: frei) werde ich bis spätestens **31.08.2021** auf das Konto der DHH (DE85 6012 0500 0007 7452 00, Verwendungszweck: Name, Mitgliedsnummer, Personenzahl und Vermerk "Mitgliederversammlung 2021") einzahlen.

Die Daten werden zur Veranstaltungsorganisation und für evtl. Prüfung durch den Förderer gespeichert. Ich stimme der Speicherung meiner Daten zu:  ja  nein (eine Teilnahme ist dann nicht möglich)

Ort, Datum, Unterschrift: \_\_\_\_\_

## Zur Erinnerung

# Finanzielle Hilfe für Huntington-Familien in der Corona-Krise

Mitglieder der Deutschen Huntington-Hilfe e.V., die aufgrund der Corona-Pandemie finanzielle Mehrbelastungen haben, können unterstützt werden. Um einen finanziellen Zuschuss zu erhalten bitte den "Antrag auf finanzielle Unterstützung für Huntington-Familien in der Corona-Krise" ausgefüllt und mit den entsprechenden Nachweisen an die DHH senden. Ein Einkommensnachweis o. ä. ist nicht notwendig.

Der Antrag kann auch über die regionale Selbsthilfegruppe gestellt werden.

Michaela Winkelmann



Foto: Michael Depping und David Hinze

## DVD mit Tanzübungen für zuhause

Zahlreiche Studien belegen einen positiven Nutzen von Sport und körperlicher Aktivität auf die Symptomatik von Huntington-Kranken – siehe dazu auch meine Online-Seminare

- **"Epigenetische Beeinflussung der Huntington-Mutation":** <https://youtu.be/TB0vDpjpVZ8> und
- **"Wie halte ich mein Gehirn fit? Erhalt der geistigen Fähigkeit"** <https://youtu.be/KxtTlHeGuuU>.



Die DVD "Tanz und Bewegung für Menschen mit Parkinson" wurde vom Netzwerk projekt:tanz pro-

duziert, durch die Techniker Krankenkasse Hamburg finanziert und von der Hilde-Ulrichs-Stiftung für Parkinsonforschung und der Paracelsus Klinik Bremen unterstützt. Sie enthält 16 Tanzübungen, die man zuhause allein oder gemeinsam mit Freund\*innen ausüben kann. Weitere Informationen zum Projekt finden Sie auf deren Webseite [www.projekttanz.com](http://www.projekttanz.com).

Bei Interesse an der DVD bitte bis zum 31. August 2021 bei der DHH-Geschäftsstelle melden, diese sammelt die Bestellungen und verteilt dann kostenlos an DHH-Mitglieder.

Dr. Herwig Lange

Abb.: Hilde-Ulrichs-Stiftg. für Parkinsonforschung

Deutsche Huntington-Hilfe e.V.  
George-Huntington-Stiftung  
Falkstraße 73-77  
47058 Duisburg



### Antrag auf finanzielle Unterstützung für Hilfsbedürftige aus Huntington-Familien

#### Antragsteller

Vorname, Name: \_\_\_\_\_

Straße, Hausnr.: \_\_\_\_\_

PLZ, Wohnort: \_\_\_\_\_

#### Ich bin in finanzielle Not geraten und benötige einen finanziellen Zuschuss.

Verwendung der Mittel (kein Nachweis erforderlich): \_\_\_\_\_

Ich beantrage einen Zuschuss in Höhe von \_\_\_\_\_ Euro

#### Kontoverbindung:

Kontoinhaber/in (Vorname, Name): \_\_\_\_\_

IBAN: \_\_\_\_\_

Datum, Unterschrift \_\_\_\_\_

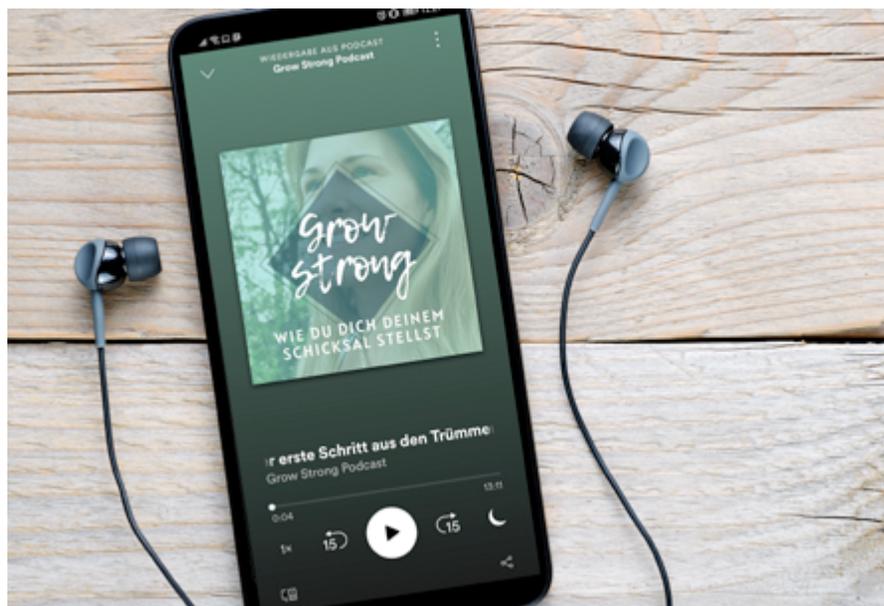


Foto: Alina

Podcast "Grow Strong" von Alina

## Podcast und ich

In den letzten Monaten ist viel passiert. Es gab eine weitere Folge "Bergdoktor", in der Huntington thematisiert wurde. Danach wurden einige Interviews geführt, unter anderem sogar mit Hans Sigl, über seltene Erkrankungen. Die Erkrankung wird immer bekannter und in verschiedenen Medien thematisiert. Mittlerweile gibt es auch den Podcast "Grow Strong" von Alina.

Bisher hatte ich mich mit Podcasts noch nicht auseinandergesetzt. Ich wusste ungefähr was sich hinter dem Begriff "Podcast" versteckt, hatte dieses Medium allerdings noch nicht für mich persönlich entdeckt. Bedingt durch die veränderten Umstände, dank Corona und einigen privaten Veränderungen, hatte ich vor Weihnachten bereits einige Podcasts zu verschiedenen Themen angehört. Irgendwann bin ich dann auch zum Podcast von Alina "Grow strong" gekommen. Natürlich habe ich mit der ersten Folge gestartet, um keine Informationslücke zu haben. Ich muss zugeben, dass ich anfangs

etwas skeptisch war. Nun gehöre ich altersmäßig auch nicht mehr zu den Mittzwanzigern, für die Podcasts als tägliche Informationsquelle schon Alltag sind.

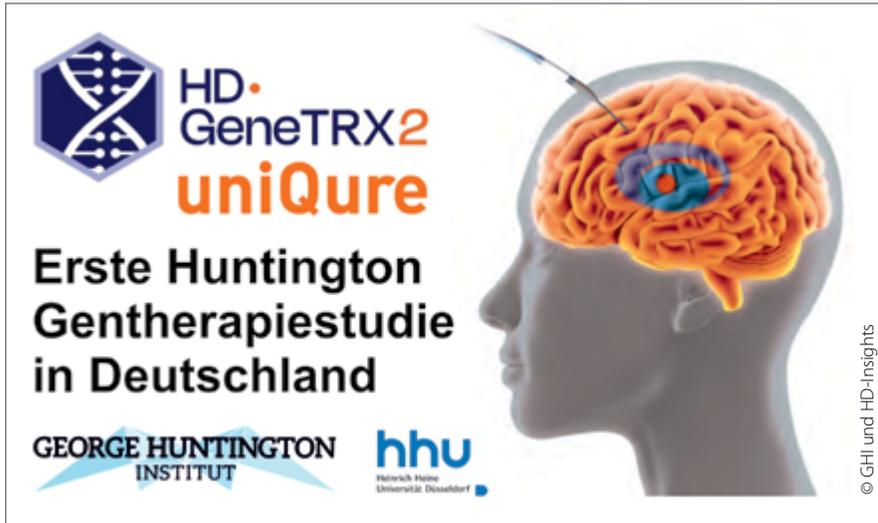
Einige Folgen habe ich dann auf dem Arbeitsweg im Zug gehört, andere beim Spazieren mit dem Hund. Jedes Mal war ich so fasziniert, dass ich die Welt um mich herum vergessen habe und mich mit den Themen ganz persönlich auch auseinandergesetzt. Alina nimmt einem bei jeder Folge mit in ihr Leben, teilt ihre Gedanken, Ängste und Hoffnungen. Obwohl wir

eigentlich Fremde füreinander sind, fühle ich mich mit ihr verbunden. Bei vielen Worten denke ich: „Ja, genau. So geht es mir auch oder so ging es mir auch.“ Deshalb finde ich toll, dass es jemand gibt, der ebenfalls positiv getestet ist und sein Leben mit uns Interessierten teilt.

Die Welt und unsere Umwelt verändern sich tagtäglich, manchmal mehr, manchmal weniger. Manche Veränderungen sind gut für uns, manche Veränderungen sind schwer für uns. Wichtig ist, dass wir Veränderungen erstmal offen gegenüber und nicht grundsätzlich alles abweisen, nur weil wir Angst davor haben oder damit bisher keine Berührungspunkte hatten. Veränderungen können nämlich auch Hoffnung sein. Hoffnung auf Verbesserung der eigenen Situation.

Mittlerweile freue ich mich, wenn eine neue Podcast-Folge "Grow Strong" erscheint. Ich höre mir den Podcast dann sehr bewusst an, ziehe mich zurück und lausche den Worten und Gedanken von Alina. Vielleicht wundert ihr euch, warum ich über den Podcast schreibe? Oder ihr habt das Gefühl, dass ich Werbung für den Podcast mache? An sich ist es keine Werbung, sondern – wie auch bei Huntington – versuche ich den Podcast bekannter zu machen.

Eure Doris



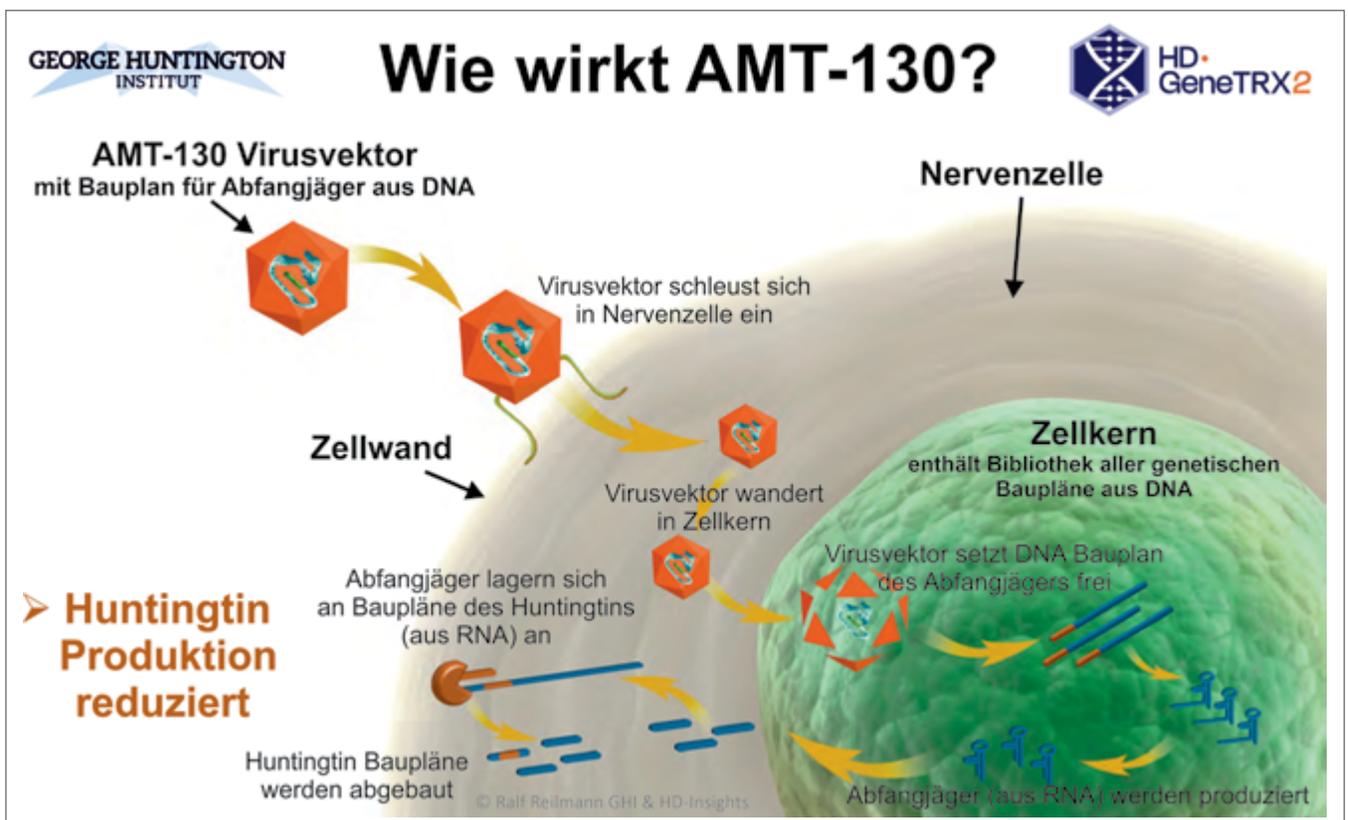
**Wie funktioniert die uniQure Gentherapie mit dem Virusvektor AMT-130?**

Ein völlig neuer Ansatz zur Reduktion der Huntingtin Produktion wird jetzt in einer Phase I/II Studie mit Huntington-Patient\*innen auch in Deutschland getestet und ersten Studienteilnehmenden in Kürze angeboten: die Therapie mit dem Virusvektor AMT-130 von uniQure.

Das Ziel des von uniQure entwickelten Therapieansatzes ist die Reduktion der Produktion von Huntingtin (Htt) – also die gleiche Grundidee, auf der die Studien von Roche oder WAVE basierten. Auch bei uniQure soll der Bauplan des Eiweißes Huntingtin durch eine RNA-Sonde gezielt abgefangen und abgebaut werden; dadurch kommt es dann zu einer gedrosselten Produktion von Huntingtin. Da wir davon ausgehen, dass Huntingtin in der mutierten Variante ein zusätzliche, schädigende Funktion in den Nervenzellen hat ("Gain-of-Function" Mutation), sollte

**uniQure Gentherapiestudie beginnt in Deutschland – Hoffnung auf effiziente Reduktion der Huntingtin Produktion im Gehirn**

Dr. Ralf Reilmann, Globaler Studienleiter (Global Coordinating Principle Investigator)



Eindringen des AMT-130 Virusvektors in eine Nervenzelle und Mechanismus der Reduktion der Huntingtin Produktion durch Abfangjäger des Bauplans (mRNA) von Huntingtin (Abb. mit Genehmigung von HD-Insights).

weniger Huntingtin weniger Schäden im Gehirn verursachen.

Soweit so gut, aber was ist das Besondere an der uniQure Studie und die Chance der "Gentherapie"? Das Besondere ist die Verabreichung der Therapie: die ist nämlich nach bisherigem Wissen nur ein einziges Mal nötig und erfolgt direkt in das Gebiet des Gehirns, das bei der Huntington-Krankheit besonders betroffen ist: Die sogenannten Basalganglien (Nucleus Caudatus und Putamen). Der Wirkstoff kommt also wirklich direkt dort an, wo er wirken soll.

### Unterschied zu ASOs

Das ist ein großer Unterschied zu den Studien mit Antisense-Oligonukleotiden (ASOs): ASOs werden lumbal im Rücken in den Liquorraum injiziert und müssen sich den Weg in das Gehirn erst bahnen. Es werden nur alle paar Wochen oder sogar Monate ca. 20 ml einer Trägerflüssigkeit, die eine definierte Dosis ASOs enthält, in den Liquorraum injiziert. Täglich werden aber ca. 300-500 ml Liquor in den sogenannten Seitenventrikeln mitten im Gehirn neu produziert und an anderer Stelle in Höhe des Schädeldachs wieder gefiltert in die Blutbahn aufgenommen. Der Liquor fließt dazu langsam aus der Tiefe des Gehirns durch einen dünnen Kanal und umspült dann die Oberfläche des Großhirns und das Rückenmark. Wie lange ein ASO im Liquor bleibt, in welcher Dosis es de facto ins Gehirn gelangt, wie tief es hier ggf. vordringt und wie lange es dann eine Wirkung entfalten kann, ist noch unklar. Um zu den Basalganglien zu gelangen, muss das ASO sich jedenfalls gegen die Strömungsrichtung des Liquors ausbreiten. Oder es müsste im Großhirn aufgenommen werden und von dort aus durch das Hirngewebe in tiefere Bereiche vordringen. In Tiermodellen hat man eine Wirksamkeit der ASOs auch in tieferen Hirnregionen beobachtet, aber

die Größe des menschlichen Gehirns ist mit der von Versuchstieren nicht vergleichbar. Und ein ASO wird nach einer gewissen Zeit abgebaut und muss daher letztlich immer wieder neu verabreicht werden. Ob eine lebenslange Gabe von ASOs durch regelmäßige Liquorpunktionen überhaupt toleriert wird, ist letztlich unklar aber vielleicht nicht sehr wahrscheinlich.

Hier bietet die Gentherapie einen entscheidenden Vorteil. Aber wie geht das? Wie bekommen wir die Therapie in die Zielgebiete im Gehirn und warum wirkt sie dort vermutlich lebenslang? uniQure hat da einen, wie ich denke, sehr cleveren Weg gewählt: Ein Virus, das in Zellen eindringen und genetische Informationen in die Zellen einschleusen kann, wurde so verändert, dass es die Baupläne für die "Abfangjäger" des Huntingtins in die Nervenzellen schleust. Es wird wie ein Paket genutzt, um den Bauplan des Abfangjägers als

Inhalt in die Zelle zu transportieren. Dort wird der Bauplan in die "Bibliothek" aller genetischen Baupläne der Zelle aufgenommen und bleibt dort dauerhaft erhalten und abrufbar. So können immer neue Kopien des Abfangjägers hergestellt werden – vermutlich lebenslang. Eine ziemlich geniale Idee, die in Tierexperimenten auch noch funktioniert...

### Wie läuft der Eingriff ab?

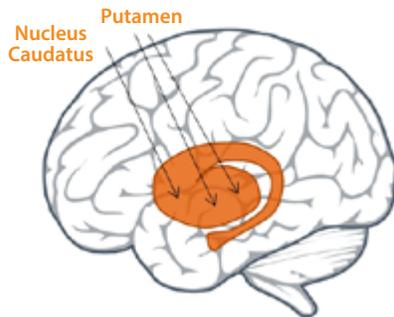
Wie alles hat auch diese Therapieidee ein paar Pferdefüße... Man muss das Virus durch eine stereotaktische neurochirurgische Operation an den Zielort bringen. Dies erfordert eine gute präoperative Planung, die allerdings heute für solche Operationen Standard ist. Durch die in der Parkinson Therapie viel genutzte Tiefenhirn-Stimulation besteht hier zum Glück viel Vorerfahrung. Auch Huntington-Patienten wurden in der DBS-HD Studie, geleitet von Herrn Prof. Dr. Jan Vesper aus Düsseldorf (siehe "Telegramme aus der Wissenschaft") mit entsprechenden Techniken bereits sicher operiert. Die Struktur des Gehirns aller Studienteilnehmer\*innen wird durch hochauflösende MRT Untersuchungen vorher genau untersucht und der sicherste Weg zum Zielgebiet für jeden Patienten individuell von einer internationalen Gruppe sehr erfahrener Neurochirurgen unter Leitung von Herrn Prof. Dr. Vesper festgelegt. Selbst intraoperativ wird der Zugang unter MRT Kontrolle live kontrolliert und auch die Injektion des Virusvektors an der richtigen Stelle so überwacht und sichergestellt. Zukünftige Studienteilnehmer\*innen sollten auch wissen, dass sie aufgrund des potentiell lebenslangen Effekts der Therapie und der erforderlichen Operation wahrscheinlich nicht an weiteren Studien teilnehmen können. Ein weiterer Punkt, der zu beachten ist, ist dass die Senkung der Baupläne "nicht-Allel-spezifisch" erfolgt, d.h.

### uniQure Gentherapie – Hintergrund

- AMT-130 ist ein Virusvektor, der den Bauplan eines Huntingtin Abfangjägers in Nervenzellen einschleust
- Dieser Abfangjäger lagert sich gezielt an Huntingtin-Baupläne an und führt zu ihrem Abbau bevor Huntingtin produziert werden kann
- In Tiermodellen konnte damit langfristig die Produktion von Huntingtin gesenkt werden
- Symptome wurden verbessert und das Überleben der Tiere verlängert
- Die Tiere haben die nicht Allel-spezifische Reduktion von gesundem und krankem Huntingtin gut vertragen
- AMT-130 kann wahrscheinlich lebenslang in erreichten Nervenzellen produziert werden

sowohl die kranke als auch die gesunde Kopie des Huntingtin Bauplans werden reduziert.

**Einmalige stereotaktische Infusion von AMT-130 Virusvektor an drei Stellen in die Basalganglien beider Hirnseiten**  
(je 1xNucleus Caudatus und 2xPutamen)



*Ziel der Gentherapie mit AMT-130 sind die Basalganglien (Nucleus Caudatus und Putamen) in der Tiefe des Gehirns (Abbildung mit Genehmigung von uniQure).*

Bisher wurde das in den durchgeführten Studien mit Tieren inklusive Minipigs (Schweinen) und Affen toleriert. Sollten aber Nebenwirkungen durch die Reduktion des gesunden Huntingtins auftreten, so könnte, anders als bei den ASOs, die Therapie nicht abgebrochen werden. Die verabreichte Dosis hat allerdings in Vorstudien mit Tieren die Huntingtin Produktion teilweise gesenkt und nicht vollständig unterbunden.

Das verwendete AMT-130 Virus ist übrigens aus der Familie der "Adenoviren" und wird nach der englischen Bezeichnung "Adeno-Associated-Virus" auch "AAV" abgekürzt. Dieser Virentypus wird in verschiedenen Varianten, oft durch Nummern gekennzeichnet, in vielen gentherapeutischen Projekten eingesetzt. Die von uniQure verwendete Variante ist ein "AAV5" Virus. Die Dosis des Virus kann genau kontrolliert werden, da das Virus so verändert wurde, dass es sich nicht mehr selbst vermehren kann. Es besteht deshalb auch keine Gefahr der Weitergabe an andere Menschen.

Zu dem Thema "Gentherapie" möchte ich noch klarstellen, dass die hier angewendete Therapie zwar die genetische

Information der behandelten Zellen mit dem Bauplan des Huntingtin Abfangjägers ergänzt, diese Veränderung aber nicht vererbt wird. Das heißt, dass durch diesen therapeutischen Ansatz keine Veränderung der Gene an die nächste Generation weitergegeben werden kann. Im Umkehrschluss bedeutet dies aber auch, dass trotz einer Therapie mit diesem Virusvektor die Erkrankung von behandelten Patienten mit der gleichen Wahrscheinlichkeit weitervererbt wird wie vorher, nämlich mit 50%. Sollte die Therapie mit AMT-130 letztlich erfolgreich sein, müssten also auch die Nachkommen von behandelten Patient\*innen sich der Behandlung erneut unterziehen.

Es gibt natürlich noch viele weitere offene und wichtige Fragen. Ob die durch den Virus transportierten Baupläne des Abfangjägers wirklich lebenslang in den menschlichen Zellen aktiv bleiben, muss untersucht und nachgewiesen werden. Sicher ist das nicht. Aber die Chance besteht. Ob sich das Virus von den primär behandelten Regionen über bestehende Nervenverbindungen auch in andere Regionen des Gehirns bewegt und hier zu einer relevanten Reduktion

### AMT-130 Studien – Fakten 1:

- Die Sicherheit und Verträglichkeit des Virusvektors AMT-130 wird nun in ersten Huntington-Patienten getestet
- AMT-130 wird mit einer dünnen Plastiknadel direkt in die Zielgebiete im Gehirn (Basalganglien beiderseits) infundiert
- Hierzu ist eine stereotaktische neurochirurgische Operation unter Narkose erforderlich
- Die Narkose erfolgt unter direkter MRT-Kontrolle, um AMT-130 sicher im Gehirn infundieren zu können

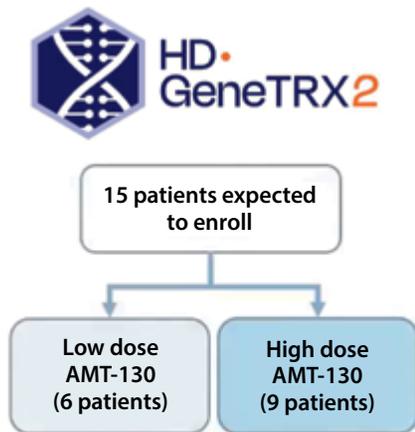
der Huntingtin Produktion führt, ist ebenfalls nicht geklärt. Dies ist aber angesichts der Größe des menschlichen Gehirns nicht so wahrscheinlich wie es bei den Tierexperimenten war, wo dies zum Teil beobachtet wurde. Wir müssen uns klarmachen, dass dann primär eine Wirkung der Therapie in den behandelten Gebieten der Basalganglien zu erwarten wäre. Auch andere Hirnstrukturen verändern sich aber im Verlauf der Huntington Krankheit. Es könnten aber zukünftig weitere Ziele im Gehirn mit Injektionen des Vektors versorgt werden. Da die Basalganglien besonders früh von der Huntington Krankheit betroffen sind, könnte ein Erhalt der Funktionen hier auch positive Auswirkungen auf mit den Basalganglien verbundene Strukturen des Gehirns haben. Aber auch dies muss letztlich in Studien untersucht werden.

Trotz all dieser Einschränkungen ist der hier beschriebene gentherapeutische Ansatz mit einer berechtigten Hoffnung auf einen positiven Effekt verbunden. Vermutlich ist das Gentherapie Programm von uniQure nun die erste Studie, die uns eine Beantwortung der Frage erlauben könnte, ob die Anwendung dieser Therapieform sicher ist. Dies gilt für den operativen Zugang wie vor allem für die Reduktion von Huntingtin in den Basalganglien. Ferner wird es aufgrund der Länge der Beobachtungsdauer in der Studie und der angewendeten Methoden eventuell möglich sein, erste Hinweise auch auf die Wirksamkeit dieses Therapieansatzes zu bekommen.

### HD•GeneTRX2 Studie

Die in Europa nun startende Studie HD•GeneTRX2 ergänzt die Studie HD•GeneTRX1, die bereits seit einiger Zeit in den USA läuft. Dort wurden bereits 10 Patient\*innen operiert; insgesamt sollen 26 Patient\*innen in die dortige Studie aufgenommen

werden. Ein Teil der Patient\*innen in der amerikanischen Studie erhält eine Placebo Operation ("sham-surgery"), die meisten werden allerdings mit dem Virus behandelt. Die europäische Studie HD.GeneTRX2 wird eine "Open-Label" Studie, das heißt, dass alle teilnehmenden Patient\*innen wirklich den aktiven AMT-130 Virusvektor erhalten werden.



In der HD-GeneTRX2 Studie werden insgesamt 15 Patienten mit zwei Dosen behandelt werden (Abbildung mit Genehmigung von uniQure).

Insgesamt werden 15 Teilnehmende gesucht, von denen sechs eine niedrigere Dosis und neun eine höhere Dosis erhalten werden. Nach einer Voruntersuchung, in der die Eignung des Patienten festgestellt werden muss, wird die Therapie in einer einzigen mehrstündigen Operation unter Vollnarkose durchgeführt. Es werden an beiden Seiten des Gehirns an je drei Stellen der Basalganglien (im Nucleus Caudatus und Putamen) definierte Mengen des AMT-130 Virusvektors langsam injiziert.

### AMT-130 Studien – Fakten 2:

- 26 Patienten können an der Studie HD.geneRXT1 in den USA teilnehmen – 10 wurden bereits erfolgreich operiert.
- 15 Patienten können an der Studie HD.geneRXT2 in Europa teilnehmen, in der alle Patienten AMT-130 erhalten
- Die Studie dauert insgesamt 5 Jahre
- Studienteilnehmer werden nach der Operation langfristig klinisch (z.B. mit UHDRS, TFC, etc.), mit objektiven Methoden (z.B. Q-Motor und HD-CAB), mit MRT und Liquoruntersuchungen beobachtet

Die Studie dauert insgesamt fünf Jahre; die Sicherheit und Verträglichkeit der Therapie werden nach sechs Monaten beurteilt und danach weiter überprüft und beobachtet. Neben den auch bei ENROLL-HD üblichen klinischen Untersuchungen werden regelmäßig MRTs des Gehirns angefertigt und auch genaue computerisierte Testungen wie die Q-Motor Untersuchung und die HD-CAB Testung durchgeführt. Auch Messungen der Konzentration von Huntingtin werden durchgeführt. Ziel der Studie ist die Sicherheit und Verträglichkeit der Anwendung von AMT-130 Virusvektoren zu untersuchen. Mit den klinischen und objektiven Untersuchungen wie MRT, Q-Motor

und HD-CAB werden wir über den langen Beobachtungszeitraum von 5 Jahren versuchen auch Hinweise auf die klinische Wirksamkeit des Therapieansatzes zu bekommen. Um diese korrekt nachzuweisen, müssten dann bei positiven Ergebnissen weitere Studien folgen, um gegebenenfalls die optimale Dosis der Therapie zu ermitteln und in einem weiteren Schritt dann die Zulassung der Therapie zu erlangen. Davon sind wir allerdings, selbst wenn alle Schritte im ersten Anlauf erfolgreich verlaufen sollten, auch im günstigsten Fall noch viele Jahre entfernt.

In Deutschland wird die Studie HD-GeneTRX2 am George-Huntington-Institut (GHI) in Münster in Kooperation mit der Klinik für Stereotaktische Neurochirurgie der Universität Düsseldorf (Prof. Dr. Jan Vesper) durchgeführt. Zwei weitere EHDN Zentren in Europa in Cardiff (Großbritannien) und Warschau (Polen) nehmen an der Studie teil. Die HD.GeneTRX2 Studie wird vom EHDN unterstützt.



Dr. Ralf Reilmann vom GHI leitet die AMT-130 Studien in den USA und Europa

Foto: Gabriele Stautner, Artifax.com

### Kann ich an HD-GeneTRX2 teilnehmen?

Teilnehmende der Studie müssen in einem sehr frühen Stadium der Huntington-Krankheit sein, zwischen 25 und 65 Jahren alt sein und einen nachgewiesenen CAG-Repeat  $\geq 40$  haben. Es müssen mehrere andere Kriterien erfüllt sein, um eine Studienteilnahme zu ermöglichen. Nach Aufklärung über die Risiken der Studie und Einwilligung zur Studienteilnahme wird in klinischen Untersuchungen, Labortests und einer Bestimmung gewisser Hirnvolumen im MRT die Eignung für die Studie festgestellt.

## Aus dem Nähkästchen

### Wie kam es zu der AMT-130 Studie? Die Geschichte einer jahrelangen Entwicklung...

Vor ungefähr sechs Jahren bekam ich einen Anruf meines befreundeten Kollegen Professor Raymund Roos aus Leiden in den Niederlanden, damals Direktor der Klinik für Neurologie und Leiter des sehr aktiven Huntington Zentrums der dortigen Universität. Er fragte an, ob ich mit meinem Team am GHI bereit sei, die in der Nachbarschaft in Amsterdam angesiedelte Biotechnologiefirma uniQure bei der Entwicklung einer neuen Therapie für die Huntington Krankheit zu unterstützen. uniQure hatte vor, durch einen Virusvektor genetische Information für die Produktion von Abfangjägern der Baupläne von Huntingtin (Htt) direkt in die Nervenzellen der am meisten betroffenen Bereiche des Gehirns von Huntington Patienten zu integrieren. Das Ziel war dadurch eine dauerhafte Verringerung der Huntingtin-Produktion zu erreichen.

Nur wenige Wochen und Telefonate später fand das erste persönliche Treffen am GHI in Münster statt, das nur zwei Fahrstunden von Amsterdam entfernt schnell erreichbar war. Das uniQure Team stellte alle bereits verfügbaren Daten ihres Virusvektor Programms "AMT-130" vor. Offensichtlich war der Virusvektor in Zellkulturen und diversen Mausmodellen der Huntington Krankheit in der Lage, die Htt Produktion zu reduzieren. Die Studien zeigten eine gute Wirksamkeit und Verträglichkeit der Therapie. Nervenzellen, die mit diesem Vektor versorgt wurden, hatten das Potential lebenslang von einer Reduktion der Htt Produktion zu profitieren – nach nur einer einzigen Anwendung!

### Kann das klappen?

Das war eine verlockende Aussicht! Um aber Menschen erfolgreich zu behandeln, musste eine gut geplante neurochirurgische Operation durchgeführt werden. Zum Glück wurde relativ schnell klar, dass mit einer genauen Vorplanung durch hochauflösende MRT Bilder des Gehirns ein sicherer Weg zu den Zielgebieten der Therapie in den sogenannten Basalganglien des Gehirns zuverlässig planbar und möglich ist. Durch einen sehr dünnen Katheter aus Kunststoff können so festgelegte Virusmengen gezielt ins Gehirn injiziert werden, ohne wichtige Blutgefäße oder Hirnareale zu gefährden.

Die Huntington Community hat bereits Erfahrungen mit derartigen (stereotaktischen) neurochirurgischen Eingriffen gesammelt. In der in der Sektion "Telegramme aus der Wissenschaft" erwähnten DBS-HD Studie mit Tiefenhirnstimulation werden von Herrn Prof. Dr. Jan Vesper in Düsseldorf und Kollegen in den anderen beteiligten Studienzentren schon seit Jahren ähnliche operative Verfahren bei Huntington Patienten sicher angewendet.



*Prof. Dr. Jan Vesper, Leiter der Sektion Stereotaktische Neurochirurgie der Uniklinik Düsseldorf (© Univ. Düsseldorf mit Genehmigung)*

Zudem gibt es viele Erfahrungen mit stereotaktischen Eingriffen zur Tiefenhirnstimulation bei Parkinson Patienten. Bei der Injektion der Virusvektoren werden modernste intraoperative MRT Untersuchungen angewendet, die

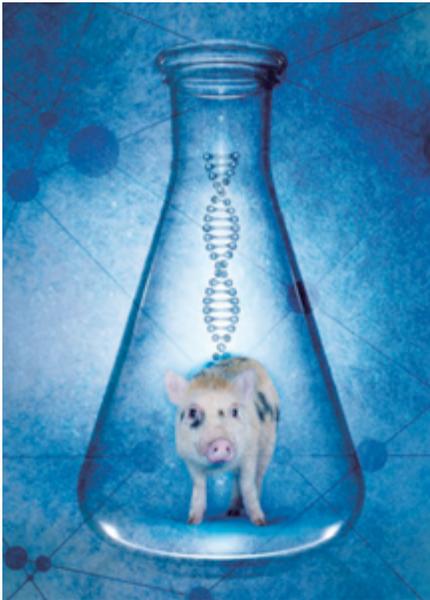
dem Neurochirurgen eine sehr präzise Positionierung des Katheters und auch eine Überwachung der Verteilung des Vektors live während der Operation ermöglichen.

Nach intensiver Diskussion der Pläne mit Prof. Dr. Jan Vesper, der nun das operative Planungskomitee der AMT-130 Studien leitet, und mehreren weltweit anerkannten Neurochirurgen in diesem Komitee, kamen wir zu der Überzeugung, dass der individuell geplante neurochirurgische Eingriff zur Injektion des Virus mit einem vertretbar geringen Risiko verbunden ist.

### Die "Minipig" Studien in Schweinen

Eine begründete Sorge war anfangs allerdings die Frage, ob die Virusvektoren sich nach Injektion an den geplanten Stellen im relativ großen Gehirn des Menschen auch regional ausbreiten würden. Ferner war unklar, ob sich die in den Virusvektoren erhaltene Erbinformation wirklich in die Nervenzellen integrieren würde und ob die Konzentration ausreichen würde, um dort die Huntingtin (Htt) Produktion zu hemmen. Auch die Dauer eines Effekts in den Nervenzellen war unklar. Zusammen mit dem uniQure Team haben wir dann ein Konzept entwickelt, das die in Europa generierten transgenen Minipigs, die auch am GHI gehalten und untersucht wurden, zu Vorstudien heranzog. Minipigs haben ein wesentlich größeres Gehirn als Mäuse oder Ratten. In Kooperation mit Jan Motlik von der Tschechischen Akademie der Wissenschaften hat das GHI Team mit Unterstützung der CHDI-Foundation mehrere Jahre lang MRT-Techniken und Verhaltenstests für transgene Minipigs entwickelt und angewendet. Die Minipigs haben ein dem Menschen neuroanatomisch sehr ähnliches Gehirn, ein ähnliches Körpergewicht und stehen genetisch und damit auch im gesamten Stoffwechsel

dem Menschen sehr nahe. Das uniQure Team entschied sich daher dafür die Minipigs für Untersuchungen der Sicherheit und Wirksamkeit von AMT-130 zu nutzen. So konnten wir zusammen mit dem Team von Jan Motlik viel über die besten Wege der Injektion, die Effekte von AMT-130 und dessen Verteilung im Hirngewebe lernen.



*Huntington Minipigs haben in der Vorbereitung der AMT-130 Studien eine wichtige Rolle gespielt (Abb. mit Genehmigung von HD-Insights).*

Die wichtigsten Erkenntnisse: Die Anwendung von AMT-130 war sicher, der Virusvektor integrierte sich wirklich in die Zellen und funktionierte, d.h. die Huntingtin Reduktion war dosisabhängig in den Basalganglien nachweisbar. Außerdem war der Vektor langfristig wirksam.

### Aufbau eines globalen Teams

Parallel zu den vielen Jahren an prä-klinischen Studien in Tiermodellen haben wir die ersten Schritte in die klinische Testung von AMT-130 bei Huntington Patienten vorbereitet. Ende 2016 haben wir ein erstes international besetztes Experten-Gremium am GHI mit Kolleg\*innen aus Canada, den USA, den Niederlanden und Deutschland versammelt. Viele weitere Treffen mit Kolleg\*innen aus dem EHDN und der

Amerikanischen Huntington Study Group (HSG) folgten. Ein enger Austausch mit den Zulassungsbehörden begleitete den Prozess, der schließlich zu den jetzt bekannten Protokollen der Studien HD•GeneTRX1 und HD•GeneTRX2 führte.

Ich bin sehr dankbar, dass ich diesen offenen und durch immer wieder neue wissenschaftliche Daten befeuerten Austausch mit vielen Expert\*innen verschiedener Berufsgruppen und Vertreter\*innen der Patientenorganisationen so eng begleiten und mit steuern durfte. Ohne den unermüdlichen Einsatz der vielen beteiligten Kollegen aus unseren internationalen Netzwerken und die intensive Unterstützung aus verschiedensten Bereichen und Organisationen wäre diese dynamische Entwicklung nicht möglich gewesen. Ständiges Feedback aus dem EHDN und der HSG begleitete den Prozess. Auch die European Huntington Association (EHA), die Huntington Disease Society of America (HDSA) und die International Huntington Association (IHA) waren engagierte Wegbegleiter.

Aufgrund des jahrelangen Engagements hat uniQure mich schließlich gebeten, als globaler Studienleiter ("Global Coordinating Principle Investigator") die Aktivitäten der HD•GeneTRX1 und HD•GeneTRX2 Studien zu koordinieren. Diese Studien sind wirklich ein lebendiges Beispiel der effizienten Zusammenarbeit in der globalen Huntington Community. Ich war daher nicht überrascht, dass Vicki Wheelock, Leiterin des "HDSA Center of Excellence" an der University of California in Davis, sich sofort enthusiastisch bereit erklärte mich als stellvertretende Studienleiterin der AMT-130 Studien zu unterstützen, als ich sie darum gebeten habe.

Vicki Wheelock hat wichtige Erfahrungen mit neurochirurgischen Interventionen im Rahmen von Stammzell-Studien

sammeln können. Wie in der Huntington Community üblich, hatten wir in mehreren Projekten, u. a. bei der Entwicklung der Q-Motor Systeme, bereits seit Jahren kooperiert.



*Dr. Vicki Wheelock, Leiterin des Huntington Center of Excellence der University of California in Davis (USA) (mit Genehmigung der UC Davis)*

Der persönliche Kontakt und die Erfahrung durch langjährige Kooperationen erleichtern die effiziente und vertrauensvolle Zusammenarbeit. Das gilt übrigens für alle an dieser Studie beteiligten Zentren mit ihren Studienleitern und Teams. Es ist ein großer Vorteil der Huntington Community, dass durch die bekannten Netzwerke und Stiftungen diese Struktur durch jahrelangen intensiven Austausch bereits etabliert wurde. Komplexe, internationale Projekte, die Interaktionen auf verschiedensten Ebenen erfordern, lassen sich so viel effizienter steuern und realisieren.

### AMT-130 auf dem Prüfstein

Die ersten Studien HD•GeneTRX1 und HD•GeneTRX2 werden nun primär die Sicherheit der Anwendung des Virusvektors AMT-130 bei Huntington-Patienten untersuchen. Wie bereits im Artikel oben geschildert, werden in diesen Studien mehrere Aspekte untersucht. Wir müssen Erfahrungen

mit den neurochirurgischen Eingriffen sammeln und untersuchen welche Auswirkung die Reduktion des Huntingtins in den Basalganglien hat. Aufgrund der geschilderten potentiell lebenslangen Wirkung muss eine langfristige Untersuchung und Betreuung der Studienteilnehmer sichergestellt sein. Die Erfahrung der Stammzell-Studien zeigt, dass die Beobachtungszeit lange über die Studiendauer hinausgehen sollte. Es ist auch im AMT-130 Programm vorgesehen, dass Patient\*innen nach den zunächst geplanten fünf Jahren länger beobachtet werden. Aufgrund der vielen unbekannt Faktoren bei diesen Studien werden wir auch alle möglichen Anstrengungen unternehmen, um Hinweise auf die klinische Wirksamkeit des Therapieansatzes zu bekommen. Hierzu werden, wie bereits dargelegt, neben den klinischen Untersuchungen wahrscheinlich gerade die objektiven MRT Volumina, die Q-Motor Analysen und HD-CAB Daten sowie Analysen von Biomarkern wie Huntingtin Informationen für weitere wissenschaftliche Hypothesen liefern.

### Die Pioniere der Genterapie – eine neue Ära beginnt

Nehmen wir mit der Genterapie nun endlich die Wurzel des Übels der Huntington-Krankheit ins Visier? Das werden, wie erläutert, die Studien erst zeigen müssen. Sicher ist aber, dass wir in der Huntington Community gerade den Schritt in eine neue Ära vollziehen – die Genterapie wird nun für Huntington-Kranke verfügbar und untersucht. Chancen und Risiken dieses neuen Ansatzes liegen auf der Hand. Die Patient\*innen und Familien, die diese Studien als Teilnehmende unterstützen werden, sind Pioniere, die sich gemeinsam mit Ihren betreuenden Ärzt\*innen in unbekanntes Terrain vorwagen. Man mag sie vergleichen mit Astronauten für den Fortschritt in der Behandlung der Huntington-Krankheit. Sie helfen uns sehr wichtige grundlegende Fragen auf dem Weg zu einer hoffentlich effizienten Therapie der Huntington-Krankheit zu beantworten.

Das gesamte weltweite Studienteam bedankt sich schon jetzt bei allen Teil



Huntington Minipig der GHI Kohorte, © GHI

nehmenden und Unterstützer\*innen! Die Ergebnisse der Studien werden wir gemeinsam mit Spannung und einer gehörigen Portion Geduld erwarten. Jetzt heißt es Daumen drücken und mit Zuversicht und Hoffnung diesen neuen Therapieansatz zu begleiten...

Verfasser:

Dr. Ralf Reilmann,  
 Direktor, George-Huntington-Institut,  
 Münster  
 Wissenschaftlicher Redakteur des HK  
 Mitglied des Exekutivkomitees des  
 EHDN und der Huntington Study Group  
[ralf.reilmann@ghi-muenster.de](mailto:ralf.reilmann@ghi-muenster.de)  
 Tel: 0251-788-788-0  
[www.ghi-muenster.de](http://www.ghi-muenster.de)



## Generation-HD1 Studie von Roche stoppt Behandlung mit Tominersen – was ist passiert & was ist bisher bekannt?

Dr. Ralf Reilmann, Wissenschaftlicher Redakteur des Huntington Kuriers

Die Behandlung mit dem Antisense-Oligonukleotid (ASO) Tominersen in der Generation-HD1 Phase III Zulassungsstudie von Roche ist im März plötzlich abgebrochen worden. Mit der Studie waren viele Hoffnungen verbunden. Umso schmerzhafter war es, völlig unvorbereitet mit diesem unerwarteten Ende konfrontiert zu werden. Was war passiert und wie kam es dazu?

### Generation-HD1 Studie – eine kurze Einführung

Bevor wir uns das näher anschauen, zunächst eine Erinnerung an den prinzipiellen Aufbau und die Zielsetzungen der Generation-HD1 Studie. 791 Teilnehmer\*innen in 18 Ländern wurden einer von drei Gruppen zugeteilt: 120 mg Tominersen alle acht Wochen (hohe Gesamtdosis), 120 mg Tominersen alle 16 Wochen (niedrige Gesamtdosis) oder

Placebo (kein Tominersen) – siehe Abb. 1. Die Studie ist verblindet, das heißt weder der Patient/die Patientin noch das Studienzentrum wissen, welcher Gruppe der/die Teilnehmende angehört. Alle Studienteilnehmer\*innen sollten über zwei Jahre behandelt und nach einem vorher festgelegten Studienplan regelmäßig untersucht werden. Im Anschluss sollten die Studienteilnehmenden die Gelegenheit erhalten an einer sogenannten "Open-Label" Studie teilzunehmen, in der sie mit Tominersen behandelt worden wären, bis entweder die Zulassung erlangt worden wäre oder die Entwicklung von Tominersen aufgrund unzureichender Wirkung abgebrochen worden wäre.

## GENERATION HD1

Phase-3 Studie zur Untersuchung der Wirksamkeit und Sicherheit von Tominersen bei erwachsenen Patienten mit manifester HK

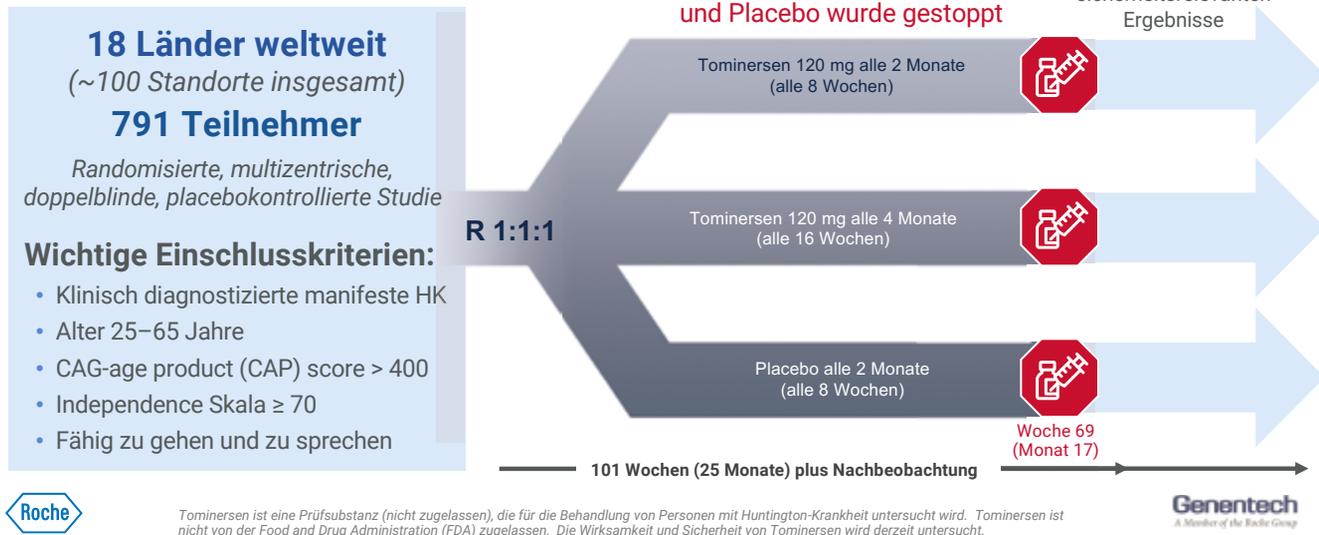


Abb. 1: Aufbau der Generation-HD1 Studie mit zufälliger Verteilung ("Randomisierung") der Teilnehmer\*innen in drei Gruppen: 120 mg Tominersen alle 8 Wochen (hohe Dosis), 120 mg Tominersen alle 16 Wochen (niedrige Dosis) oder Placebo (kein Tominersen).

### Was war das Ziel der Behandlung mit Tominersen?

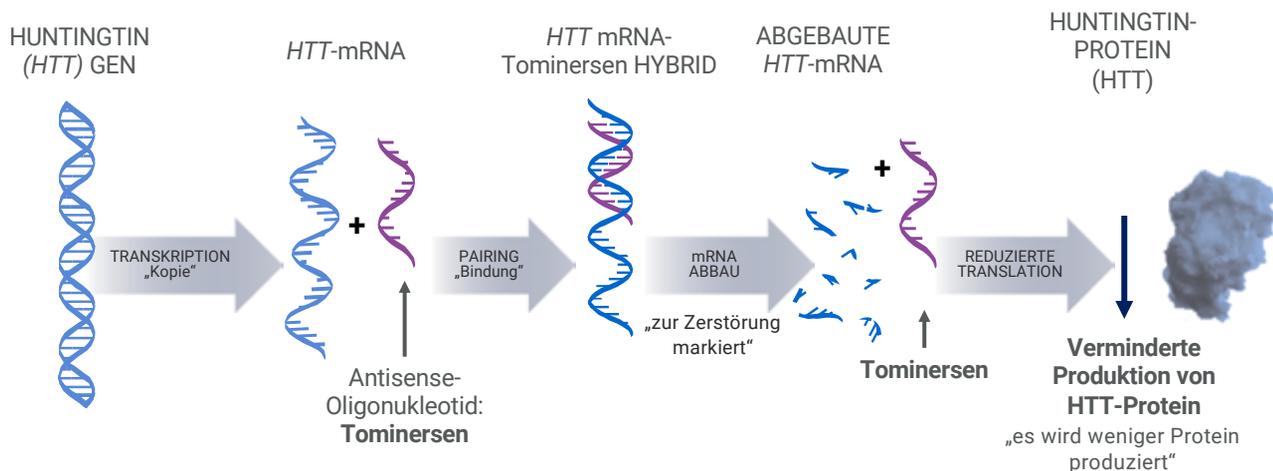
Erinnern wir uns an den therapeutischen Ansatz, den Roche mit dem ASO Tominersen verfolgt hat: in vielen Vorstudien mit Tiermodellen war es gelungen durch Tominersen die Produktion des

Huntingtins (HTT) durch einen Abbau der Baupläne des Huntingtins (mRNA) in Folge einer Anlagerung des ASOs an den Bauplan zu reduzieren – siehe Abb. 2. Die behandelten Tiere zeigten eine Verbesserung ihrer Symptome und lebten länger. In einer ersten viel

beachteten Studie mit 46 Huntington-Patient\*innen zur Sicherheit und Verträglichkeit wurde im Liquor auch eine Reduktion der Konzentration des mutierten Huntingtins nachgewiesen – eine klinische Wirksamkeit sah man allerdings in der kleinen und

## TOMINERSEN UND DIE HYPOTHESE DER HTT-SENKUNG

Tominersen ist eine Prüfsubstanz, die auf die zugrunde liegende, genetische Ursache der HK abzielt



HK=Huntington-Krankheit, HTT=Huntingtin, mRNA=messenger-RNA  
Tominersen ist eine Prüfsubstanz (nicht zugelassen), die für die Behandlung von Personen mit Huntington-Krankheit untersucht wird. Tominersen ist nicht von der Food and Drug Administration (FDA) zugelassen. Die Wirksamkeit und Sicherheit von Tominersen wird derzeit untersucht.



Abb. 2: Das ASO Tominersen reduziert durch Anlagerung an die Baupläne des Huntingtins (HTT mRNA) die Produktion des Huntingtin Proteins (HTT). Nach Anlagerung von Tominersen an den Bauplan (mRNA) wird dieser in der Zelle abgebaut und steht somit nicht mehr für die Huntingtin Produktion zur Verfügung.

sehr kurzen Studie erwartungsgemäß nicht. Um die klinische Wirksamkeit von Tominersen nachzuweisen, wurde die Generation-HD1 Studie als Phase III Zulassungsstudie mit einer angemessenen großen Patientenzahl und Studiendauer gestartet. Die Studie war aufgrund der positiven Vorbefunde mit vielen Erwartungen verbunden. (Siehe Abb 2)

Überraschend für alle wurde die Behandlung mit Tominersen in der Generation-HD1 Studie dann im März 2021 gestoppt. Am Montag, den 23.03.2021 um 21:10 Uhr, erhielt ich als Hauptprüfarzt am George-Huntington-Institut in Münster, wie alle meine Kolleg\*innen an Studienzentren weltweit, eine E-Mail mit folgendem Titel: „IMPORTANT: Discontinuation of dosing in GENERATION HD1 (BN40423) & pause of dosing in GEN-EXTEND (BN40955)“. Aus der Email ging hervor, dass das

„independent Data Monitoring Committee“ (abgekürzt „iDMC“) der Studie dem Sponsor Roche empfohlen hatte, die Behandlung mit Tominersen in der Generation-HD1 Studie dauerhaft zu beenden und auch in der Open-Label

**Generation-HD1 – Hintergrund:**

- Tominersen konnte die Produktion von Huntingtin in Tiermodellen und 46 Huntington Patienten reduzieren
- Generation-HD1 hat daher die klinische Wirksamkeit von Tominersen in ca. 800 Patienten untersucht
- Studienteilnehmer wurden mit 120mg Tominersen alle 8 (hohe Gesamtdosis), alle 16 Wochen (niedrige Gesamtdosis) oder mit Placebo behandelt

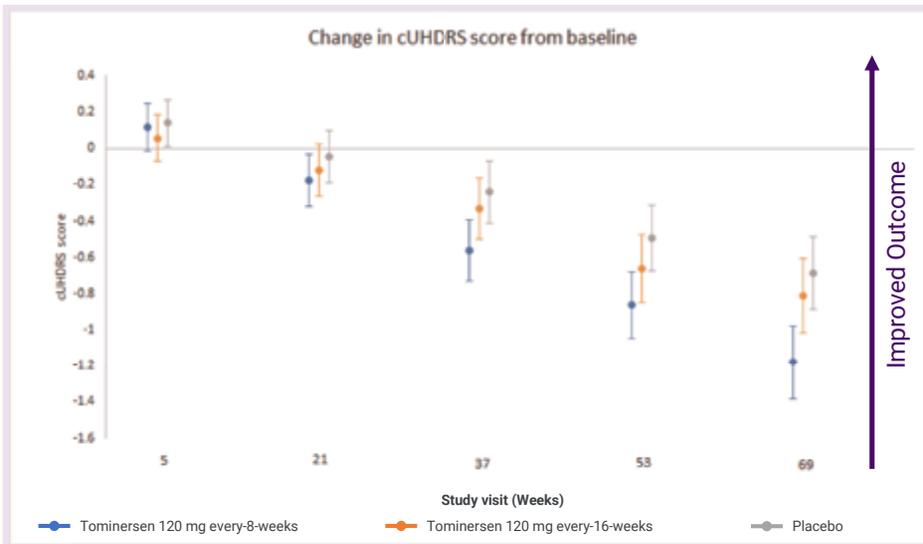
Studie (GEN-EXTEND) zu pausieren. Die Nacht wurde lang – gefüllt mit vielen Telefonaten und erstem Austausch über das was passiert war oder passiert sein könnte, was das für die Studienteilnehmer bedeuten würde und auch für die Huntington-Community insgesamt.

**Wer hat die Behandlung mit Tominersen gestoppt?**

Jede große Studie hat ein spezielles unabhängiges Sicherheits-Komitee von erfahrenen Fachleuten, die sich alle Daten der Studie regelmäßig anschauen. In der Generation-HD1 Studie wurde dies auf Englisch "independent Data Monitoring Committee" (abgekürzt "iDMC") genannt. Das Komitee hat die Aufgabe die bestmögliche Sicherheit der an der Studie teilnehmenden Patient\*innen zu gewährleisten. Um seine Aufgaben optimal erfüllen zu können, darf dieses Komitee die

PRIMÄRES ERGEBNIS  
(AUSSERHALB DER USA UND JAPAN)

**cUHDRS ÄNDERUNG AB BASELINE BIS WOCHE 69**



- In allen Armen gab es eine Abnahme des cUHDRS über die Zeit bis Woche 69
- Der Arm mit Tominersen 120 mg alle 8 Wochen zeigte die stärkste Abnahme gegenüber Placebo
- Der Arm mit Tominersen 120 mg alle 16 Wochen zeigte eine Abnahme, gegenüber Placebo, jedoch ist der Unterschied aufgrund überlappender Balken unklar

cUHDRS=composite Unified Huntington's Disease Rating Scale  
 Die vorläufigen Analysen wurden mit einem nicht-finalen Datensatz durchgeführt, einzelne Werte können sich noch ändern. Die Datenpunkte repräsentieren die Mittelwerte der kleinsten Quadrate und die Fehlerbalken die 95%-Konfidenzintervalle der gesamten Intent-to-treat-Population. Tominersen ist eine Prüfsubstanz (nicht zugelassen), die für die Behandlung von Personen mit Huntington-Krankheit untersucht wird. Tominersen ist nicht von den zuständigen Behörden (FDA/EMA) zugelassen. Die Wirksamkeit und Sicherheit von Tominersen wird derzeit untersucht.

Abb. 3: cUHDRS Ergebnis der Generation-HD1 Studie – eine Veränderung nach unten bedeutet eine Verschlechterung: es zeigt sich im Prinzip eine dosisabhängige Verschlechterung der behandelten Patient\*innen gegenüber der Placebogruppe. Wie auf der Abbildung von Roche beschrieben, nehmen bei den Teilnehmer\*innen mit der hohen Dosis (blau) die im cUHDRS beurteilten Symptome der Huntington-Krankheit am meisten zu, die Gruppe mit der geringeren Dosis (orange) schneidet etwas besser ab, aber ebenfalls schlechter als die Placebo-Gruppe (grau). Die Veränderungen sind zudem zu allen Zeitpunkten der Untersuchung konsistent nachweisbar und nehmen mit der Zeit zu. Das spricht für zuverlässige und aussagekräftige Daten.

Daten der Studie auch "unverblindet" anschauen und analysieren. Das Sicherheits-Komitee kann also auch schon während der laufenden Studie Therapieeffekte der behandelten Gruppen im Vergleich zu der nicht behandelten Placebo Gruppe beobachten und bewerten. So kann es besser beurteilen, ob die Studie ein Sicherheitsrisiko für die Studienteilnehmer\*innen darstellen könnte. Die Mitglieder des Komitees müssen diese Details aber im Allgemeinen geheim halten, um die verblindete Durchführung der Studie nicht zu gefährden.

Das Komitee übermittelt nach jeder Sitzung eine Empfehlung an den Sponsor der Studie. Diese kann zum Beispiel lauten, dass keinerlei Bedenken bestehen und die Studie fortgeführt werden kann wie bisher, es können Veränderungen des Studienprotokolls

empfohlen werden wie zum Beispiel engmaschigere Visiten oder gewisse Labortests, oder es kann auch eine Empfehlung ausgesprochen werden, die Studie zu beenden. Diese Empfehlungen basieren im Regelfall auf Beobachtungen in der Studie und werden entsprechend mit Daten begründet. Die Mitglieder des Komitees sind unabhängig von dem Team, das die Studie durchführt und im Regelfall auch unabhängig vom Sponsor, der die Studie finanziert. Die Häufigkeit und Zeitpunkte der Zusammenkünfte des Sicherheits-Komitees im Studienverlauf werden im Studienprotokoll vor Beginn der Studie festgelegt und auch von den Ethikkommissionen überprüft. Bei der Generation-HD1 Studie wurde z. B. festgelegt, dass die Daten der Studie unter anderem zu dem Zeitpunkt vom Sicherheits-Komitee angeschaut werden, an dem

ca. 60 % alle Studienteilnehmer die 17 Monats-Visite absolviert hatten. Dieser Zeitpunkt war im März 2021 erreicht und von diesen Daten sprechen wir nun.

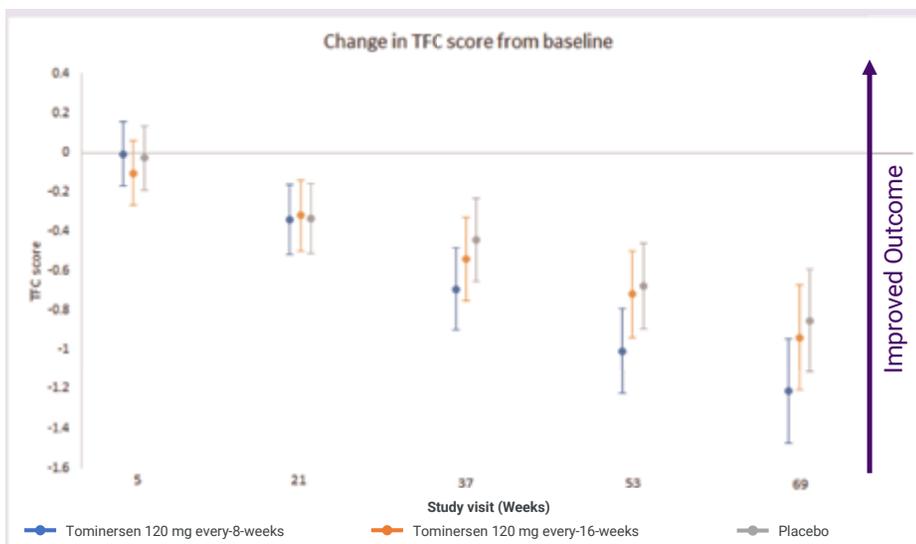
### Warum wurde die Behandlung mit Tominersen gestoppt?

Wie kam es nun also zu der Empfehlung des Sicherheits-Komitees iDMC, die Behandlung mit Tominersen in der Studie zu unterbrechen, und warum ist das Management der Firma Roche dieser Empfehlung gefolgt? Und – ist die Entscheidung nachvollziehbar?

Dem Sicherheits-Komitee iDMC fielen vor allem folgende Sachverhalte auf: die mit Tominersen behandelten Patienten zeigten in der primären zur Beurteilung der Wirksamkeit in der Studie genutzten Skalen cUHDRS (Composite Unified Huntington's Disease Rating Scale) und TFC (Total

PRIMÄRES ERGEBNIS  
(USA und Japan)

## TFC ÄNDERUNG AB BASELINE BIS WOCHE 69



- **Alle Arme** zeigten eine Abnahme in der TFC über die Zeit bis Woche 69
- **Der Arm mit Tominersen 120 mg alle 8 Wochen** zeigte die stärkste Abnahme gegenüber Placebo
- **Der Arm mit Tominersen 120 mg alle 16 Wochen** zeigte eine Abnahme, gegenüber Placebo, jedoch ist der Unterschied aufgrund überlappender Balken unklar

TFC=totale funktionelle Kapazität (Skala für die Gesamtfunktionalität)

Die vorläufigen Analysen wurden mit einem nicht-finalen Datensatz durchgeführt, einzelne Werte können sich noch ändern. Die Datenpunkte repräsentieren die Mittelwerte der kleinsten Quadrate und die Fehlerbalken die 95%-Konfidenzintervalle der gesamten Intent-to-treat-Population. Tominersen ist eine Prüfsubstanz (nicht zugelassen), die für die Behandlung von Personen mit Huntington-Krankheit untersucht wird. Tominersen ist nicht von den zuständigen Behörden (FDA/EMA) zugelassen. Die Wirksamkeit und Sicherheit von Tominersen wird derzeit untersucht.



Genentech  
A Member of the Roche Group

Abb. 4: TFC Ergebnis der Generation-HD1 Studie – eine Veränderung nach unten bedeutet eine Verschlechterung; es zeigt sich im Prinzip eine dosisabhängige Verschlechterung der behandelten Patienten\*innen gegenüber der Placebogruppe. Wie auf der Abbildung von Roche beschrieben, nehmen bei den Teilnehmer\*innen mit der hohen Dosis (blau) die im TFC beurteilten Symptome der Huntington-Krankheit am meisten zu, die Gruppe mit der geringeren Dosis (orange) schneidet etwas besser ab, aber ebenfalls schlechter als die Placebo-Gruppe (grau). Die Veränderungen sind zudem zu allen Zeitpunkten der Untersuchung konsistent nachweisbar und nehmen mit der Zeit zu. Das spricht für zuverlässige und aussagekräftige Daten.

Functional Capacity) eine dosisabhängige **Verschlechterung** gegenüber den mit Placebo behandelten Patienten. Das heißt, die Verschlechterung war bei den alle acht Wochen mit 120 mg Tominersen behandelten Patienten mit der höheren Gesamtdosis größer als bei den alle 16 Wochen behandelten Patient\*innen mit der niedrigeren Gesamtdosis, aber auch diese schnitten im Mittel etwas schlechter ab als die nicht behandelten Teilnehmer\*innen in der Placebo Gruppe – siehe Abbildungen 3 und 4. Das Gegenteil war das Ziel der Studie gewesen – wir wollten eine Verbesserung und damit einen Erhalt der Funktionen erreichen, die im cUHDRS und TFC untersucht und bewertet werden.

Die Verschlechterungen im cUHDRS und im TFC in den Behandlungsgruppen waren zu allen Zeitpunkten konsistent und ohne Schwankungen nachweisbar. Die Veränderungen nahmen zudem auch im Verlauf der Studie zu. All diese Beobachtungen sprechen für zuverlässige und aussagekräftige Daten.

Ich möchte hier aber auch klarstellen, dass die beobachteten Veränderungen in den klinischen Skalen nicht dramatisch waren. Die Effekte waren eher moderat und ließen sich im Allgemeinen nur in Gruppenanalysen feststellen. Es ist also keine offensichtliche Verschlechterung eingetreten, die man an einer relevanten Zahl von Individuen klar hätte erkennen könnte. Trotzdem erlauben die Gruppeneffekte eine klare Aussage. Siehe Abbildung 4.

Der cUHDRS und die TFC Skala hatten in der Generation-HD1 Studie eine besondere Bedeutung: sie dienten als sogenannter "primärer Endpunkt" der Studie. Nur wenn der eine vorher festzulegende primäre Endpunkt in einer Studie durch die untersuchte Behandlung verbessert wird, kann ein Medikament zugelassen werden. Das ist jetzt zugegebenermaßen etwas paradox

und möglicherweise verwirrend: Ich sprach gerade von einem primären Endpunkt. Aber wir haben ja nun hier zwei primäre Endpunkte, den cUHDRS und den TFC. Warum ist das so? Nun, es gibt hier eine gewisse Kuriosität der Generation-HD1 Studie: Der Sponsor Roche hat in dem Protokoll festgelegt, dass der TFC als Prüfstein für die Wirksamkeit von Tominersen in den USA und Japan dienen sollte, der cUHDRS aber in den restlichen Ländern der Welt, wozu auch Deutschland gehört. Das ist vorher in Huntington Studien noch nicht vorgekommen. Dieser Weg wurde wegen unterschiedlicher Rückmeldungen der Zulassungsbehörden gewählt, um optimale Chancen für die ASO Therapie in den verschiedenen Regionen der Welt zu wahren und die Therapie im Falle einer erfolgreichen Studie möglichst schnell allen Patient\*innen zugänglich machen zu können. Da sich im cUHDRS und der TFC gleiche Effekte zeigten, ergibt sich hieraus zum Glück keine Unsicherheit in der globalen Beurteilung der Studienergebnisse.

Zusätzlich zu den klinischen Verschlechterungen zeigte sich auch eine ebenfalls dosisabhängige und beeindruckende Vergrößerung der inneren Liquorräume in den in der Studie durchgeführten MRT Untersuchungen des Gehirns. Das heißt, dass die Hirnflüssigkeit "Liquor" bei den behandelten Patient\*innen einen größeren Raum im Schädelvolumen ausfüllte als zu Beginn der Studie. Allerdings waren keine relevanten Veränderungen in den Volumina der Basalganglien (Nucleus Caudatus) und im gesamten Hirnvolumen nachweisbar.

### Was bedeuten diese Befunde und wie kann man sie erklären?

In dem Zusammenhang kommt eine weitere wichtige Beobachtung ins Spiel: Die Laboruntersuchungen des Liquors deuteten auf gewisse entzündliche

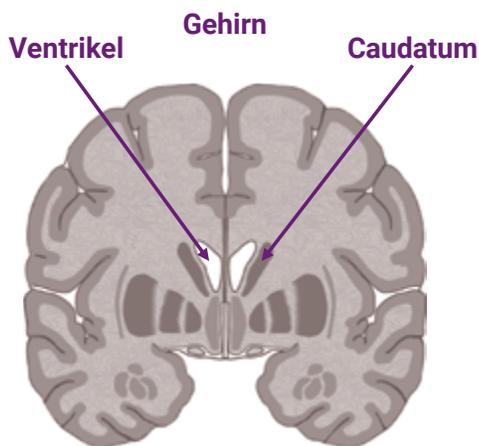
Veränderungen im Liquor in den mit Tominersen behandelten Gruppen hin. Vieles spricht daher in der Gesamtschau der Befunde bei der aktuell verfügbaren Datenlage dafür, dass die wiederholte Anwendung des ASOs Tominersen eventuell bei einer relevanten Gruppe von Studienteilnehmer\*innen an den Hirnhäuten zu Reizungen und entzündlichen Veränderungen geführt haben könnte. Siehe Abbildung 5.

Diese entzündlichen Veränderungen könnten für einen reduzierten Transport von Liquor in den Ventrikeln verantwortlich gewesen sein. Ein paar Grundlagen zum besseren Verständnis: Täglich werden ca. 300 - 500 ml Liquor in den beiden großen Ventrikeln (auch Seitenventrikel genannt) mitten im Gehirn neu produziert und an anderer Stelle in Höhe des Schädeldachs wieder gefiltert in die Blutbahn aufgenommen. Der Liquor fließt dazu langsam aus der Tiefe des Gehirns durch einen dünnen Kanal und umspült dann die Oberfläche des Großhirns und das Rückenmark.

Entzündliche Veränderungen im Ventrikelsystem können den Transport und die Wiederaufnahme des Liquors behindern. Besonders der dünne Kanal, der die Seitenventrikel mit den äußeren Liquorräumen verbindet, ist dafür anfällig. Er kann sich durch eine Entzündung verengen und im Extremfall regelrecht verkleben. So ist ein chronischer Rückstau des frisch produzierten Liquors eine mögliche Erklärung der beobachteten Zunahmen der Ventrikel Volumen.

Auch die beobachteten Veränderungen der klinischen Skalen cUHDRS und TFC wären dann durch den erhöhten Hirndruck gut erklärbar. Diese Beeinträchtigungen sind von Patienten mit Hirndruck allgemein bekannt. Letztlich spricht also sehr vieles dafür, dass die beobachteten Verschlechterungen durch eine Nebenwirkung der

## WELCHE ÄNDERUNGEN WURDEN IN DER BILDGEBUNG (MRI) AB BASELINE BIS WOCHE 69 BEOBACHTET?



### Gehirn:

Keine medikamentenbedingten Unterschiede bzgl. Atrophie des gesamten Gehirns (d. h. Abnahme der Gehirnmasse über die Zeit) durch Tominersen vs. Placebo zu Woche 69

### Caudatum:

Keine medikamentenbedingten Unterschiede bzgl. Atrophie des Caudatum (d. h. Abnahme der Gehirnmasse über die Zeit) durch Tominersen vs. Placebo zu Woche 69

### Ventrikel Volumen:

Arzneimittelbedingte Zunahmen des ventrikulären Volumens wurden in Woche 69 beobachtet (n=41 Patienten):

- 24% (alle 8-Wochen)
- 17% (alle 16-Wochen)
- 11% (Placebo)

Die meisten Fälle waren nicht mit klinischen Symptomen assoziiert. Regelmäßige, neurologische Untersuchungen werden in allen Studien durchgeführt als Teil der weitergeführten Sicherheitsuntersuchung

MRI=magnetic resonance imaging

Die vorläufigen Analysen wurden mit einem nicht-finalen Datensatz durchgeführt, einzelne Werte können sich noch ändern.

Tominersen ist eine Prüfsubstanz (nicht zugelassen), die für die Behandlung von Personen mit Huntington-Krankheit untersucht wird. Tominersen ist nicht von den zuständigen Behörden (FDA/EMA) zugelassen. Die Wirksamkeit und Sicherheit von Tominersen wird derzeit untersucht.



Abb. 5: MRT Bildgebung des Gehirns zeigte eine relevante Aufweitung der Ventrikel Volumen, das heißt der mit Liquor gefüllten Hohlräume des Gehirns. Es gab keine Hinweise auf einen relevanten Verlust an Hirnvolumen im gesamten Gehirn und im Nucleus Caudatus der Basalganglien. Auch die Veränderungen im Ventrikelvolumen waren zu allen Zeitpunkten der Untersuchung konsistent nachweisbar und nahmen mit der Zeit zu.

ASO-Therapie und nicht durch eine Senkung der Huntingtin Produktion hervorgerufen worden sind. Mit letzter Sicherheit bewiesen ist dies jedoch nicht. Aber es wäre eine plausible Erklärung, die mit den beobachteten Fakten gut vereinbar wäre.

Das Sicherheits-Komitee iDMC hat all diese Daten mit Umsicht analysiert und ist zu dem Entschluss gekommen, dass die Behandlung mit Tominersen so nicht fortgeführt werden sollte. Wir wissen nun warum. Diese Interpretation der Datenlage ist absolut nachvollziehbar und die daraus abgeleiteten Empfehlungen waren gerechtfertigt. Auch die Entscheidung des Managements von Roche, der Empfehlung des iDMC zu folgen, war adäquat.

### Was bedeutet das für andere Studien, die eine Reduktion der Huntingtin Produktion zum Ziel haben?

Meiner Ansicht nach gab es in der Generation-HD1 Studie in den bisher verfügbaren Daten keine Hinweise auf

### Generation-HD1 – Fakten:

- Nach einer Zwischenanalyse hat Roche die Behandlung mit Tominersen in der Studie gestoppt
- Dies war vom Sicherheits-Komitee der Studie empfohlen worden
- Im cUHDRS hatten sich behandelte Patienten gegenüber Placebo verschlechtert
- Der TFC hatten sich bei behandelten Patienten gegenüber Placebo verschlechtert
- Im MRT des Gehirns zeigte sich eine Vergrößerung der mit Liquor gefüllten Ventrikel (Hohlräume) des Gehirns in den behandelten Patienten gegenüber Placebo

eine durch Reduktion der Huntingtin Produktion hervorgerufene Wirkung oder Nebenwirkung. Es ist unklar, ob und wenn ja in welchem Grad die Huntingtin Produktion in der Tiefe des Gehirns reduziert wurde und falls

ja, welche Effekte das hatte. Definitiv waren in der Generation-HD1 Studie eventuelle, spekulative Huntingtin reduzierende Effekte nicht in der Lage die beobachteten Nebenwirkungen auszugleichen. Die grundsätzliche Problematik der Ausbreitung von ASOs nach Injektion durch lumbale Liquorpunktion wird in dem Artikel über die uniQure Gentherapie ausführlich dargestellt.

### Warum ist die weitere Teilnahme an der Generation-HD1 Studie wichtig?

Die Teilnehmer\*innen der Generation-HD1 Studie sollten weiter im Verlauf beobachtet werden. Wie entwickeln sich die Symptome nach Absetzen der Therapie? Wie verändern sich die im Liquor messbaren Marker und wie lange sind die festgestellten (negativen) Effekte nachweisbar? All diese Fragen können nur beantwortet werden, wenn die Studienteilnehmer\*innen trotz des Abbruchs der Behandlung mit Tominersen weiter in der Studie verbleiben und zu den nun vorgeschlagenen

reduzierten Visiten noch ans Studienzentrum kommen. Sie dienen damit dem Erkenntnisgewinn und helfen die nächsten Studien besser planen zu können.

### Gerüchtecke: Wie geht es weiter mit Tominersen oder gibt es Alternativen für Roche?

Hierzu ist zu sagen, dass die endgültigen Analysen aller Daten der Generation-HD1 Studie abgewartet werden müssen, bevor eine finale abschließende Bewertung über die Zukunft von Tominersen erfolgen sollte.

Es dürfte aber schon problematisch bleiben, dass mit den in der Generation-HD1 Studie getesteten Dosen keine positiven klinischen Effekte erzielbar waren. Warum sollte mit einer niedrigeren Dosis, die eventuell besser vertragen werden könnte, eine Verbesserung der Klinik erzielbar sein, die bei hoher Dosis nicht auftrat? Ob es spezielle Gruppen von Patient\*innen gibt, bei denen die Anwendung vielleicht doch Sinn macht, bleibt abzuwarten. Es werden noch viele Analysen mit dem umfassenden Datensatz durchgeführt werden. Ich persönlich erwarte aber aufgrund der bisher doch klar negativen Datenlage eher nicht, dass Tominersen in der aktuell hergestellten Form klinisch weiterentwickelt wird.

Es scheint aber sehr vernünftig, die mit Tominersen gewonnenen wichtigen Erkenntnisse zu nutzen, um ein verändertes ASO zu entwickeln, das die beobachteten Nebenwirkungen nicht verursacht. Es könnte dann gegebenenfalls auch in höherer Dosis eingesetzt werden. Vielleicht wäre unter den Umständen auch eine Injektion in die Seitenventrikel direkt möglich? Dadurch könnte die Konzentration der ASOs in der Zielregion der Basalganglien sicher erhöht werden. Wir sollten nicht vergessen, dass das Tominersen ASO schon etliche Jahre alt ist und das Gebiet der

ASO Forschung Fortschritte gemacht hat. Auch bei der Firma Ionis, von der Roche das ASO Tominersen lizenziert hat, sind erhebliche Fortschritte erzielt worden. Neue ASOs, die vielleicht sogar eine allel-spezifische Reduktion von Huntingtin erlauben könnten, wären sicher eine Perspektive für ein weiteres Engagement der Firma Roche für Huntington Kranke.

### Ein Dank an alle Teilnehmer und an das Roche-Team!

Allen Teilnehmenden der Generation-HD1 und ihren Angehörigen möchte ich an dieser Stelle für Ihren Einsatz für die Forschung ganz herzlich danken! Ihr Engagement hat uns viele große Meilensteine weitergebracht und wird noch zu vielen neuen und sehr wichtigen Erkenntnissen durch den umfassenden Datensatz der Generation-HD1 Studie führen. Davon werden zukünftige Studien profitieren und dadurch besser werden!

Mein ausdrücklicher Dank gilt ferner dem Roche-Team für die unkomplizierte Unterstützung bei der Erstellung dieses Artikels durch die Bereitstellung der verwendeten Abbildungen und die Bereitschaft die Ergebnisse in dieser Form schon vor einer Publikation in einer Fachzeitschrift mit den Huntington-Patienten und -Familien zu teilen.



Verfasser:

Dr. Ralf Reilmann,  
Direktor, George-Huntington-Institut,  
Münster  
Wissenschaftlicher Redakteur des HK  
Mitglied des Exekutivkomitees des  
EHDN und der Huntington Study Group  
[ralf.reilmann@ghi-muenster.de](mailto:ralf.reilmann@ghi-muenster.de)  
Tel: 0251-788-788-0  
[www.ghi-muenster.de](http://www.ghi-muenster.de)

**GEORGE HUNTINGTON  
INSTITUT**

Abbildung 1–5 mit freundlicher Genehmigung von der Roche Pharma AG für den HK zur Verfügung gestellt.

## Telegramme aus der Wissenschaft



### PROOF-HD – Pridopidine Phase III Zulassungsstudie rekrutiert weiter!

Die im vorletzten Huntington-Kurier ausführlich vorgestellte Phase III Zulassungsstudie PROOF-HD mit dem Wirkstoff Pridopidine hat bereits über 100 aktive Teilnehmende. Insgesamt werden 480 Patient\*innen im Stadium I und II der Huntington-Krankheit weltweit an der Studie teilnehmen können. Über ca. 1½ Jahre erhalten jeweils die Hälfte der Studienteilnehmenden 2 x 45 mg Pridopidine Kapseln oder 2 x Placebo Kapseln pro Tag. Im Anschluss an die Phase III Studie wird eine Open-Label Studie angeboten, in der alle Patient\*innen das Medikament bekommen. Der primäre Endpunkt der Studie ist die "Total Functional Capacity" (TFC) Skala, die auch in ENROLL-HD angewendet wird und Beeinträchtigungen der globalen alltäglichen Funktionen abfragt.

In der PRIDE-HD Studie zeigten sich Hinweise auf eine Stabilisierung der TFC Werte in den Frühstadien der Erkrankung. Zusätzlich werden eine Reihe anderer Untersuchungen wie z. B. der Total-Motor-Score (UHDRS-TMS) und Q-Motor Tests angewendet, da Pridopidine in früheren Studien positive Effekte im UHDRS-TMS (in MermaiHD und HART) und im Q-Motor (in PRIDE-HD) zeigte. Die TFC Daten und objektiv gemessene Q-Motor Effekte in der PRIDE-HD Studie könnten als Nachweis eines zentralen Effekts von Pridopidine bei der Huntington-Krankheit gesehen werden. Daher wird die PROOF-HD Studie nun durchgeführt, um diese Effekte zu bestätigen und damit eine neue Therapiemöglichkeit für die Huntington-Krankheit zu entwickeln. Die Studie wird vom EHDN unterstützt.

In Deutschland können Sie an folgenden Zentren an der Studie teilnehmen: George-Huntington-Institut Münster, Huntington-Zentrum Süd Taufkirchen, Ruhruniversität Bochum, Universität Aachen, Universität Lübeck, Universität Ulm. Die Teams der Zentren beantworten Ihnen gerne weitere Fragen.



### WAVE Antisense Oligonukleotid (ASO) Studie mit SNP3 beginnt

Die beiden ersten WAVE Studien, die den SNP1 und SNP2 als Angriffspunkt der Therapie nutzten, sind vor wenigen Wochen wegen unbefriedigender Ergebnisse in den Analysen der Konzentration der kranken und gesunden Huntingtin Spiegel im Liquor beendet worden. Während sich erstmals in einer Studie in Huntington-Patienten Trends für eine allel-spezifische Reduktion von Huntingtin zeigten, waren keine statistisch signifikanten und somit verwertbaren Ergebnisse erzielt worden. Die neue, von WAVE momentan in der Start-up-Phase befindliche Studie mit dem allel-spezifischen ASO für den SNP3 nutzt jedoch ein verändertes ASO mit einem anderen chemischen Aufbau. In Studien mit Tieren hat diese neue Klasse des ASOs eine bessere Aufnahme in Hirngewebe und eine bessere Wirksamkeit in der Reduktion von mutiertem Huntingtin gezeigt. Es ist daher sinnvoll diese Studie trotz der vorher negativ abgeschlossenen Studien mit dem SNP1 und SNP2 durchzuführen. Die Studie hat nun sogar eine besondere Bedeutung in der Hinsicht, dass wenn der Ansatz mit dem SNP3 positive Ergebnisse zeigt, auch für Träger der SNP1 und SNP2 Varianten

neue Studien mit dem neuen Aufbau des ASOs geplant werden könnten. Dies wird allerdings noch etwas Zeit benötigen, da diese Substanzen dann auch erstmal ausführlich in Tiermodellen getestet werden müssten, bevor eine Anwendung im Menschen möglich ist. Im Anschluss an die randomisierte Phase der Studie können alle Patient\*innen an einer Open-Label Studie teilnehmen, in der allen Studienteilnehmenden das ASO zugänglich gemacht wird.

In Deutschland werden neben dem George-Huntington-Institut in Münster auch das Huntington-Zentrum Süd in Taufkirchen und die Ruhruniversität Bochum als Studienzentren aktiv sein. Interessenten können sich bei diesen Zentren melden. Die Studie wird vom Europäischen Huntington-Netzwerk unterstützt. Weitere Details siehe vorherige Ausgaben des Huntington-Kuriers.



### HD-Clarity sucht neue Teilnehmende und ermöglicht jetzt jährliche Untersuchungen!

Die HD-Clarity Studie der CHDI Stiftung ([www.chdifoundation.org](http://www.chdifoundation.org)) sammelt Liquorproben von insgesamt 600 prämanifesten und manifesten Huntington-Mutationsträger\*innen (<http://hdclarity.net>). Studienteilnehmende müssen 21 bis 75 Jahre alt sein und an der ENROLL-HD Studie teilnehmen. Ab jetzt sind auch jährliche Follow-up Untersuchungen möglich, die für die Entwicklung von Biomarkern für die Huntington-Krankheit sehr wichtig sind. Weitere Informationen zu dieser weltweit durchgeführten Studie erhalten Sie in den Studienzentren. In Deutschland können Sie an den Studienzentren George-Huntington-Institut Münster, Ruhruniversität

Bochum, Universitätsklinikum Aachen, Universitätsklinikum Erlangen und Universitätsklinikum Ulm an der Studie teilnehmen. In Österreich ist eine Teilnahme an der Universität Innsbruck möglich. Die Studie wird vom Europäischen Huntington-Netzwerk unterstützt.



### Objektive Analyse von Huntington-Symptomen – das IDEA-FAST Projekt der Europäischen Union läuft und sucht weitere Teilnehmende

Das IDEA-FAST Projekt ([www.idea-fast.eu](http://www.idea-fast.eu)) hat zum Ziel digitale Endpunkte für Müdigkeit, Schlafqualität und Aktivitäten des täglichen Lebens in neurodegenerativen Erkrankungen zu etablieren. Beeinträchtigungen bei der Abwicklung des alltäglichen Tagesablaufs und auch Schlafstörungen verbunden mit Tagesmüdigkeit sind häufig bei Huntington-Patienten zu beobachten. Durch eine großzügige Förderung der Europäischen Union (> 40 Mio. Euro) wird das IDEA-FAST Konsortium nun in den nächsten fünf Jahren **verschiedene Geräte** zur Messung von Schlaf, Müdigkeit und Alltagsleistungen bei Huntington-Patienten und Genträgern sowie bei Patienten anderer Erkrankungen testen. Ziel ist es, gut anwendbare und leistungsfähige Geräte zu finden, die in der Zukunft bei der Entwicklung und Überwachung von neuen Therapien der Huntington-Krankheit helfen können. In einer ersten Studie soll bei symptomatischen Huntington-Patient\*innen und prämanifesten Huntington-Genträgern sowie gesunden Kontrollprobanden die sichere Anwendbarkeit und Bedienerfreundlichkeit verschiedener Geräte über ca. vier Wochen im häuslichen Umfeld getestet werden. Patient\*in

und ein/e Angehörige/r müssen dazu einmal ans Studienzentrum kommen und werden dort mit den zu testenden Geräten vertraut gemacht. Dies kann im Rahmen einer ENROLL-HD Visite erfolgen. Nach einem festgelegten Zeitplan werden dann zu Hause verschiedene Sensoren (Uhren oder andere kleine Geräte) getragen oder angewendet. Die Probanden werden dabei vom Studienzentrum regelmäßig unterstützt.

Die Teilnahme an dieser Studie ist beim George-Huntington-Institut in Münster und über die Huntington-Ambulanz der Universität Lübeck möglich. Für Fragen steht Frau Aufenberg am GHI unter 0251 788788-0 zur Verfügung. Bitte unterstützen Sie dieses Projekt durch Ihre Teilnahme!



### HD-DBS – Tiefenhirn-Stimulationsstudie (DBS) sucht letzte Teilnehmende!

Die Tiefenhirn-Stimulationsstudie ist fast vollständig rekrutiert und sucht nun noch allerletzte Teilnehmende. Ziel der Studie ist die Reduktion unwillkürlicher choreatischer Bewegungen bei Patient\*innen, bei denen Medikamente nicht ausreichend wirken.

Die an der Studie beteiligten deutschen Zentren sind: Düsseldorf (Operation) mit den zuweisenden Zentren Bochum und Münster, Kiel (Operation) mit dem zuweisenden Zentrum Heiligenhafen, München LMU (Operation) mit dem zuweisenden Zentrum Taufkirchen, Freiburg (Operation) mit dem zuweisenden Zentrum Ulm, Berlin (Chirurgie) mit dem zuweisenden Zentrum Charité Berlin. In der Schweiz wird zudem das HD Zentrum in Bern an der Studie teilnehmen. Für Details wenden Sie sich bitte an die beteiligten Studienzentren. Die Studie wird vom Europäischen Huntington-Netzwerk unterstützt.

Verfasser:

Dr. Ralf Reilmann

Direktor, George-Huntington-Institut, Münster

Wissenschaftlicher Redakteur des HK Mitglied des Exekutivkomitees des EHDN und der Huntington Study Group [ralf.reilmann@ghi-muenster.de](mailto:ralf.reilmann@ghi-muenster.de)

Tel: 0251-788-788-0

[www.ghi-muenster.de](http://www.ghi-muenster.de)



### Neues aus der Huntington-Forschung – auf Deutsch –

#### GPR52: Ein neuer Weg der Huntingtin-Reduzierung

Chinesisches Forscherteam entwickelt eine neue Methode für die indirekte Huntingtin-Verminderung durch die Ansteuerung des Eiweißes GPR52. Die Moleküle, die sie synthetisierten, konnten Zellkulturen und Huntington-Mäuse vor Schäden schützen.

<https://de.hdbuzz.net/298>

#### GENERATION-HD1 ASO-Studie von Roche und Ionis abgebrochen

Enttäuschendes von Roche und Ionis: die Phase-III-Studie zur Huntingtin-Verminderung mittels Tominersen wurde vorzeitig gestoppt.

<https://de.hdbuzz.net/300>

#### Enttäuschende Ergebnisse bei Wave's PRECISION-HD1 und -HD2-Studien

Wave Life Sciences teilt mit, dass die beiden PRECISION-HD-Studien der Phase 1b/2a leider keinen Erfolg bei

der Huntingtin-Verminderung erzielen konnten. <https://de.hdbuzz.net/301>

### Gute Nachrichten von uniQure: Gentherapie-Studie auf dem Weg und vielversprechende Daten in Tieren

Die ersten 10 Teilnehmer wurden in der HD Gentherapie-Studie von uniQure behandelt und drei Manuskripte beschreiben eine sichere, großflächige Huntingtin Senkung. <https://de.hdbuzz.net/302>

### Huntington's Disease Therapeutics Conference 2021, Tag 1

Unsere Übersicht zu Huntington's Disease Therapeutics Conference 2021, Tag 1 #HDTC2021 mit Details von Wave, Roche und Triplet. <https://de.hdbuzz.net/304>

### Huntington's Disease Therapeutics Conference 2021, Tag 2

Unsere Übersicht zu Huntington's Disease Therapeutics Conference 2021, Tag 2 #HDTC2021 <https://de.hdbuzz.net/305>

### Huntington's Disease Therapeutics Conference 2021, Tag 3

Unsere Übersicht zu Huntington's Disease Therapeutics Conference 2021, Tag 3 #HDTC2021 <https://de.hdbuzz.net/306>

### Danksagung

Rebecca und Christiane Reick haben diese Artikel ehrenamtlich übersetzt. Vielen Dank dafür!

### Über HDBuzz und die Kooperation zwischen der DHH und HDBuzz

HDBuzz bereitet internationale Nachrichten der Huntington-Forschung für Laien verständlich auf. Die Deutsche Huntington-Hilfe e.V. unterstützt HDBuzz finanziell, d. h. die Mitglieder der DHH fördern mit ihren Beiträgen die Plattform und das Team, das wissenschaftliche Neuigkeiten in einfacher Sprache aufbereitet. Freiwillige übersetzen die Inhalte ins Deutsche. Das ist unverzichtbar, um die Inhalte in Landessprache verfügbar zu haben.

Michaela Winkelmann

## Die Huntington-Krankheit – eine Herausforderung (auch) für Psychotherapeuten

Im "Psychotherapeutenjournal" (1/2021) hat Prof. Dr. Matthias Dose den Artikel "Die Huntington-Krankheit – eine Herausforderung (auch) für Psychotherapeuten" veröffentlicht.

**Zusammenfassung:** Die erbliche Huntington-Krankheit (HK) stellt für Betroffene, Angehörige und Betreuungspersonen mit ihrem zu vollständiger Pflegebedürftigkeit führenden chronisch progredienten Verlauf und den sie begleitenden kognitiven, psychischen und motorischen Beeinträchtigungen eine erhebliche psychosoziale Belastung dar. Die betroffenen Patienten, aber auch deren Kinder mit dem 50%igen Risiko, selbst zu erkranken, und (häufig häuslich) pflegende Angehörige bedürfen psychologischer/psychotherapeutischer Unterstützung und Behandlung. Dieser in Deutschland mindestens 30.000 Menschen umfassende Personenkreis von Betroffenen und Risikopersonen findet

gegenwärtig zu wenig mit dem Krankheitsbild vertraute Psychotherapeuten. Vor diesem Hintergrund soll dieser Artikel Basiswissen zur Huntington-Krankheit vermitteln und die daraus resultierenden "Bedarfe" von Betroffenen, Risiko- und z. T. pflegenden Bezugspersonen mit dem Ziel darstellen, dass sich Psychotherapeuten angesprochen fühlen, sich dieser bislang vernachlässigten Klientel anzunehmen" (Prof. Dr. Matthias Dose, Psychotherapeutenjournal, 1/2021).

Wir danken Prof. Dr. Matthias Dose für diese sehr gute Ausarbeitung und dem Psychotherapeutenjournal dafür, dass wir den Artikel auf unserer Webseite veröffentlichen dürfen. Hier finden Sie den Artikel "Die Huntington-Krankheit – eine Herausforderung (auch) für Psychotherapeuten" von Prof. Dr. Matthias Dose: <https://dhh-ev.de/sites/default/files/Psychotherapie%20bei%20HK-2021.pdf>

### Psychotherapeutenkammer Bremen: Huntington-Krankheit – eine Einführung für Psychotherapeuten\*innen mit Prof. Dr. Matthias Dose

Am 15. April 2021 fand bei der Psychotherapeutenkammer Bremen die Online-Veranstaltung **Huntington-Krankheit – eine Einführung für Psychotherapeuten\*innen mit Prof. Dr. Matthias Dose, München** statt. Nach dem Vortrag von Prof. Dr. Dose, der die Inhalte des o. a. Artikels vertiefte und die Fragen der Psychotherapeuten eingehend beantwortet, konnte Carmen Vogel die Arbeit der Deutschen Huntington-Hilfe und besonders die Aktivitäten der Huntington Selbsthilfegruppe Bremen vorstellen.

Die Präsidentin der Kammer, Frau Thobaben, hat davon getwittert und uns den Link davon zur Verfügung gestellt: [https://twitter.com/PK\\_Bremen/status/1382353373991727104](https://twitter.com/PK_Bremen/status/1382353373991727104)

Jürgen Pertek

## DHH Online-Seminare zum Stopp von Tominersen bzw. der ASO-Dosierungen

Bereits wenige Tage nach Bekanntgabe, dass die Dosierungen mit dem Wirkstoff Tominersen im Rahmen der weltweiten Generation HD 1 Studie (Phase 3) gestoppt wurden, veranstaltete die DHH ein Online-Seminar. Prof. Dr. Bernhard Landwehrmeyer und Prof. Dr. Carsten Saft erläuterten was passierte und wie es weitergeht. Fast 100 Interessierte nahmen teil und konnten ihre Fragen stellen.

Ein zweites Online-Seminar folgte Anfang Mai – nachdem auf der CHDI Konferenz die Daten veröffentlicht wurden, die zum überraschenden Stopp der Dosierungen mit dem Wirkstoff Tominersen geführt haben. Erneut waren Prof. Dr. Bernhard Landwehrmeyer und Prof. Dr. Carsten Saft bereit, die

deutsche Huntington-Gemeinschaft über den Stand der der Erforschung der Huntington-Krankheit zu informieren. Insbesondere präsentierten und erläuterten sie die Daten, die Roche auf der CHDI Konferenz bekannt gab. Zudem zeigten sie die Ergebnisse der Wave-Studie sowie die derzeitigen und zukünftigen Studien. Sie beantworteten gemeinsam mit Dr. Ines Reuter und Dr. Claudia Kolar (beide Roche) die Fragen der Teilnehmer\*innen und gaben einen Ausblick, wie es weitergehen wird.

Diejenigen, die keine Zeit hatten oder vielleicht noch nicht die Ruhe und Kraft hatten sich das Seminar anzuhören, können die Aufzeichnung und Unterlagen im Nachgang anschauen.



Foto: M. Winkelmann

Prof. Dr. Carsten Saft, Michaela Winkelmann und Prof. Dr. Bernhard Landwehrmeyer im Online-Seminar

Hier die Links:

- DHH Online-Seminar am 27. März 2021: "Stopp für Tominersen bei Generation HD 1": <https://youtu.be/482jcgqSDGN8>
- DHH Online-Seminar am 8. Mai 2021: "Stopp von ASO-Dosierungen bei der HK": [https://youtu.be/y5\\_2s8EZzLM](https://youtu.be/y5_2s8EZzLM)
- Unterlagen: <https://dhh-ev.de/online-seminare>

Michaela Winkelmann

### Wichtige Stütze in Zeiten von Covid-19

## 4. Angehörigenwochenende der Deutschen Huntington-Hilfe

Weiterhin hat Corona die Welt fest im Griff: Ausgangssperren, Vermeidung von sozialen Kontakten ... Dies schafft jedoch für Angehörige aus Huntington-Familien zusätzliche Probleme. Sie haben einen vermehrten Bedarf an Austausch und auch Hilfestellung durch praktische Tipps anhand ihrer speziellen Situation. Auch stellen die Ausgangs- und Kontaktbeschränkungen eine extreme psychische Herausforderung dar. Die Verlagerung des Lebens in die eigenen vier Wände über Monate birgt zusätzliches Konfliktpotenzial, aber auch die Gefahr des Abrutschens in psychische und physische Probleme. Um den Angehörigen eine Stütze sein

zu können und mit ihnen in den Austausch zu kommen, wurde zusätzlich zum Angehörigentreff via Zoom die Online-Angehörigenwochenenden mit verschiedenen Referent\*innen und Themen organisiert.

Auftakt der deutschlandweiten Veranstaltungen vom 5. bis 7. März war der Freitagabend zum Austausch und Vorstellung der Programminhalte der folgenden Tage. 17 Teilnehmer\*innen aus dem ganzen Bundesgebiet folgten der Einladung der Deutschen Huntington-Hilfe. Es ergaben sich nach einer Vorstellungsrunde schon brennende Themen, welche von Kalle Brosig und

Jochen Maier moderiert wurden.

Am Samstag wurde der Seminartag mit einer 30-minütigen Meditationseinheit von Anke Ehrich mit praktischen Tipps zur Entspannung begonnen. Das war der perfekte Auftakt in den Tag, der den Teilnehmenden sehr gut tat. Im Anschluss folgte ein Workshop zum Thema "Wie komme ich mit meiner persönlichen Situation langfristig klar". Unser Referent Psychologe M. Sc. Jakob Neumüller aus dem Huntington-Zentrum Süd (Taufkirchen/Vils) nahm die Teilnehmer\*innen bei Fall-Visiten mit. Die Teilnehmer\*innen fanden sich darin wieder und beteiligten sich aktiv

mit ihrem Erlebten. Hierbei wurden Strategien aufgezeigt, wie man mit diesen Alltagssituationen umgehen kann. Nach der Mittagspause, welche bewusst etwas länger gewählt wurde, fand ein Online-Seminar mit 35 Interessierten zum Thema: "Schluckstörungen – praktische Tipps im Umgang mit HK-Patienten" mit unserem Referenten Christoffer Kern statt.



Foto: DHH

Logopädie mit Christoffer Kern

Die Teilnehmenden konnten in diesem sehr praktischen Seminar für viele ihrer offenen Fragen Antworten, Informationen und Tipps im Umgang mit den Patienten erhalten.

Den Seminartag ließen wir mit Musik von Cesare und Friends (Cesare, Anna und Pat) ausklingen. Nach kurzfristigen technischen Problemen stiegen wir auf YouTube um. Hier konnten die Teilnehmer\*innen mit ihren Liedwünschen einfach mal den Tag bei netter Atmosphäre und einem Glas Wein ausklingen lassen.

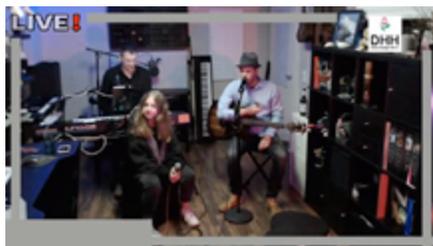


Foto: DHH

Musikalisches Programm mit Cesare & Friends

Denn Sonntag starteten wir wieder entspannt mit Meditation und Power mit Anke Ehrlich, danach konnten wir im Stimm- und Sprechworkshop mit unserer Referentin Tünde Gajdos lernen, wie wir durch verschiedene Sprechtechniken auf andere wirken

und somit vielleicht Konfliktsituationen zukünftig besser meistern.

**Zitat:**

*"Die Mischung macht es aus, die war einmalig: Aus Fachbeiträgen, Entspannung, Musik, Austausch. Die gibt es sonst nicht. Jeder kann für sich das herauspicken, was für ihn passend ist. Man ist miteinander verbunden, auch wenn man an unterschiedlichen Orten ist."*

**Unser Fazit**

- Der Bedarf, den Angehörigen ein spezielles Angebot weiterhin anzubieten und diese als Motor der Familie zu stärken, sollte noch mehr in den Fokus gerückt werden.
- Mit der Schaffung von kleinen Auszeiten, wie der Musik am Abend oder Meditation, hilft man den Angehörigen den Akku wieder aufzuladen.
- Durch Vernetzung und Austausch hilft man sich gegenseitig – dies gibt positive Energie für den Alltag.
- Nur ein starker Partner/eine starke Partnerin kann stärken. Zu dieser Stärkung wollen wir mit Angeboten für Angehörige beitragen.
- Ein solch gemeinsam gestalteter Tag oder ein Wochenende tut sehr gut, jeder und jede nimmt für sich sehr viel mit.
- Unbedingt weiter an diesem Format des Online-Austausches oder in regionalen Kleingruppen festhalten.

Sowohl das Online-Seminar als auch das Konzert wurden aufgezeichnet und sind auf YouTube-Kanal veröffentlicht:

- Online-Seminar Logopädie: <https://youtu.be/baWh0Np4F5o>
- Konzert mit Cesare und Friends: <https://www.youtube.com/watch?v=nj2V0d2686o>

Sylvia Pasiëka und Jochen Maier



Foto: huntington.at

**Huntington-Ratgeber und Webseite Huntington-Info – nicht nur für Österreich**

**Informationen über den Umgang mit der Huntington-Krankheit**

**Der Huntington-Ratgeber**

Bewegungsstörungen, emotionale Störungen und Störungen des Denkvermögens – das sind die Hauptsymptome der Huntington-Krankheit. Sie ist derzeit nicht heilbar. Sie schreitet stetig voran: unaufhaltsam, verheerend, tödlich. Betroffene wie Angehörige sind enormen psychischen, physischen sowie finanziellen Belastungen ausgesetzt. Sie müssen wissen, welche Problemsituationen auf sie zukommen und welche Hilfen ihnen zur Verfügung stehen, um diese Schwierigkeiten zu bewältigen. Dementsprechend bietet der vorliegende Ratgeber Grundinformation zum gesamten Themenbereich. Es geht um Aufklärung über die Krankheit und ihre Behandlung, um Fragen der Ernährung, Pflege und Unterbringung, um Mobilität und den Umgang mit Behörden. Darüber hinaus geht es um rechtliche Ansprechpartner, um Begünstigungen bei Steuern, Arbeit und Versicherungen und um die Sicherung finanzieller und sozialer Ansprüche. Spezielle Hinweise für Angehörige sowie zahlreiche Tipps aus



Foto: E. Brückner

Der Huntington-Ratgeber

der Praxis runden den Ratgeber ab. Insgesamt bietet die Lektüre allen Betroffenen und Beteiligten für die mannigfachen Probleme des Alltags mit der Huntington-Krankheit eine

umfassende, verständliche und wirksame Hilfe. Den Huntington-Ratgeber finden Sie auf der Webseite [www.huntington-info.at](http://www.huntington-info.at) zum Runterladen.

### Die Webseite Huntington-Info



Foto: E. Brückner

Huntington-Info ist eine private Webseite mit Information und Ratschlägen für den Alltag mit der Huntington-Krankheit für Betroffene, Risikopersonen, Angehörige, Pflegepersonal und andere Interessierte. Die Webseite ist entstanden in Erinnerung an die aus Mangel an Wissen und Informationsmöglichkeiten bedingte eigene Hilflosigkeit zu der Zeit, als unserer Tochter die Diagnose "Huntington" mitgeteilt wurde. Die Seite resultiert vorwiegend aus der

Erfahrung mehrjähriger Pflege, vielen Gesprächen und Kontakten mit anderen Betroffenen und deren Angehörigen sowie zahlreichen Recherchen. Sie soll daher Familien in ähnlicher Lage helfen, sich frühzeitig mit den zu erwartenden Belastungen vertraut zu machen. Sie richtet sich somit in erster Linie an diejenigen Betroffenen, Risikopersonen und Angehörigen, die plötzlich mit der Krankheit konfrontiert werden und eine "Erste Hilfe" zu anstehenden Problemen suchen, vor allem praktischen Rat. Dennoch kann der eine oder andere Hinweis auch denjenigen Angehörigen, Betreuern oder Betroffenen von Nutzen sein, die längere Erfahrung im Umgang mit der Krankheit besitzen. Die Zusammenstellung der angebotenen Themenbereiche einschließlich des Huntington-Ratgebers deckt sicherlich nicht alle Facetten der Huntington-Krankheit ab, denn die Probleme, die diese verursacht, sind vielfältig und

individuell. Überdies sprengen einzelne Themen den Umfang der Webseite und können nicht erschöpfend behandelt werden, zum Beispiel der detaillierte medizinische Hintergrund, die Auflistung aller Hilfs- und Pflegedienste oder alle Fragen des Arbeits- und Sozialrechts. Insofern sind diverse Themen vereinfacht und verkürzt dargestellt. In diesen Fällen können die zum Beispiel im Ratgeber aufgezeigten Literatur- oder Ansriftenhinweise weiterführen. Außerdem dient diese Seite einer ersten Information. Bei der Lösung von Einzelfällen kann und soll sie eine kompetente Beratung nicht ersetzen.

Ich hoffe, dass die Lektüre allen Betroffenen und Beteiligten für die mannigfachen Probleme des Alltags mit der Huntington-Krankheit eine umfassende, verständliche und wirksame Hilfe darstellt.

Ekkehart Brückner

### Landesverband Berlin-Brandenburg

## Aktivitäten des Landesverbandes Berlin-Brandenburg im Frühjahr

### Regelmäßige Online-Treffen der Selbsthilfegruppe

Wegen der weiterhin bestehenden Corona-Pandemie gelten auch für das Jahr 2021 umfangreiche Kontaktbeschränkungen, sodass wir unsere geplanten Treffen nicht wie gewohnt als Präsenzveranstaltung durchführen können und wollen. Wie bereits im letzten Jahr machten wir aus der Not eine Tugend und trafen uns am 19.01.2021 zu einem Online-Treffen der Selbsthilfegruppe. Datenschutzkonform fand die Videokonferenz über das kostenlose Online-Tool "Jitsi Meet" mit einer knapp zweistelligen Teilnehmerzahl statt. Mit personellen Veränderungen auf der Huntington-Ambulanz der Charité Berlin und einem für den Herbst 2021 geplante Theaterprojekt, bei dem auch um die Vererbung

der Huntington-Krankheit thematisiert wird, sowie Hinweisen auf morgendlichen Frühsport in 3. TV-Programmen, begann unsere Gesprächsrunde. Im folgenden Erfahrungsaustausch konnten alle Teilnehmer\*innen ihre Gedanken und Ereignisse der letzten Zeit schildern, wobei die ganze Bandbreite der Ereignisse vom ruhigen Verlauf der Erkrankung bis zum auch Corona-bedingten Einschlafen eines betroffenen Familienmitgliedes zur Sprache kam. Ich danke allen Beteiligten für ihre offene Mitwirkung.

### Februar-Treffen mit Schwerpunkt "finanzielle Unterstützungen"

Auch im Februar ließ die Corona-Pandemie noch kein Präsenztreffen unserer Selbsthilfegruppe zu, also gab es wieder

ein Online-Beisammensein. Zu Beginn unseres Treffens am 16.02.2021 wurde schmunzelnd festgestellt, dass die beim letzten Mal empfohlene morgendliche Telegymnastik (im RBB und im BR 3) nicht umfangreich wahrgenommen wurde. Weiterhin folgten Neuigkeiten von der Huntington-Station der Charité sowie Berichte einzelner nicht online anwesender Mitglieder. Besonders interessant war die Information, dass neuerdings in einigen Pflegeeinrichtungen in Berlin vorherige Corona-Tests für besuchende Angehörige vor Ort durchgeführt werden.

Im Rahmen der Einzelberichte der Teilnehmenden kamen wir auf das Thema "Zuschüsse für bauliche Veränderungen für Behinderte". So fördert die Pflegekasse einen Zuschuss für das Wohnumfeldverbessernde Maßnahmen in Höhe von bis zu 4.000 Euro. Infos gibt es bei den Pflegestützpunkten,



Online-Treffen im Januar 2021



Schnapschuss vom Treffen im März 2021

Fotos: Andreas Schmidt

siehe für Berlin <https://www.pflegestuetzpunkteberlin.de/> sowie für das Bundesland Brandenburg <https://pflegestuetzpunkte-brandenburg.de/>. In Berlin gewährt die zuständige Senatsverwaltung für Stadtentwicklung und Wohnen - IV A 2-, Fehrbelliner Platz 4, 10707 Berlin, einmalige Zuschüsse u. a. für die Errichtung von barrierefrei und uneingeschränkt mit dem Rollstuhl nutzbarer Wohnungen, siehe <https://www.stadtentwicklung.berlin.de/wohnen/wohnungsbau/de/foerderung/index.shtml>.

Auch die Investitionsbank des Landes Brandenburg fördert die behindertengerechte Anpassung in vorhandenem Wohnraum mit Zuschüssen bis zu 12.000 € für bauliche Maßnahmen und bis zu 14.000 Euro für den Abbau von Barrieren bewilligt werden. Gemeinsam sind das bis zu 26.000 Euro. Die Zuschüsse müssen nicht zurückgezahlt werden, siehe <https://www.ilb.de>.

Auch die Kreditanstalt für Wiederaufbau bietet einen Zuschüsse, z. B. für die Anpassung von Sanitärobjekten, siehe <https://www.kfw.de/inlandsfoerderung/Privatpersonen/>.

Für Mitglieder der DHH besteht die Möglichkeit, bei der George-Huntington-Stiftung (Familienstiftung) im Bedarfsfall einen Antrag auf finanzielle Unterstützung aufgrund einer schwierigen finanziellen Lage zu stellen. Auskünfte gibt es bei unserer Geschäftsstelle in Duisburg. Darüber hinaus berichteten

alle Teilnehmenden über ihre Erlebnisse und Erfahrungen der letzten Zeit, ob nun mit oder ohne Huntington – und auch mit oder ohne Corona.

### Corona bleibt auch im März nicht außen vor

Auch im März ließ uns die Corona-Pandemie keine Wahl. So trafen wir uns am 16.03.2021 wieder zu einer Videokonferenz der Selbsthilfegruppe und alle schienen technisch auf einem guten Erfahrungsstand zu sein, was sich auch in der Anzahl der teilnehmenden Mitglieder widerspiegelte. Natürlich war Corona das Thema, das uns alle beschäftigte und jeder hatte seine Geschichte und seine individuelle Meinung zum aktuellen Zeitgeschehen, zumal das Impfen mit dem Impfstoff AstraZeneca gerade ausgesetzt wurde und dadurch die Hoffnung auf ein schnelles Impfen großer Bevölkerungsteile einen herben Dämpfer erfahren hat. Aber natürlich kamen wir von der allgemeinen Situation auch immer wieder in unsere eigene kleine Welt mit der Situation um und mit der Huntington-Krankheit. Nach wie vor steht es in den Sternen, wann wir uns – wie vor der Pandemie – wieder direkt als vollständige Gruppe treffen können, ganz regulär und ohne große Einschränkungen. Bis dahin werden wir weiter anbieten und machen, was geht, z. B. Einzelkontakte untereinander pflegen, zukünftige Treffen und die Orte vorbereiten, Anfragen beantworten und Gespräche führen mit allen, die es möchten.

Huntington macht keine Corona-Pause und daher schreitet auch die Krankheit weiter voran und belastet und erschwert zunehmend das Alltagsleben von Erkrankten, Angehörigen und Freunden. Wir merken in der Gemeinschaft: wir sind nicht allein und wir können uns direkt und vertraulich austauschen und wertvolle Tipps von unseren Fachleuten aus der Gruppe holen. Und wenn wir noch weitere qualifizierte Einschätzungen benötigen sollten, können wir bundesweit auf die Unterstützung von erfahrenen Fachleuten zurückgreifen. Und das alles werden wir auch weiterhin tun, in der Zeit der Corona-Pandemie und erst recht auch im Anschluss danach, wann auch immer das sein wird.

Über die Terminierung unserer weiteren Treffen zum Erfahrungsaustausch sowie der Gruppe der Angehörigen und der Gruppe der Genträger wird nach Ablauf der Corona-Kontaktbeschränkungen entschieden. Auf der Internetseite <https://www.dhh-ev.de/Berlin-Brandenburg> informieren wir auch in Corona-Zeiten über den aktuellen Stand unserer weiteren Veranstaltungen. Unsere Kontaktpersonen stehen für Gespräche zur Verfügung.

Andreas Schmidt  
Deutsche Huntington-Hilfe Berlin-Brandenburg e.V.  
[a.schmidt@dhh-ev.de](mailto:a.schmidt@dhh-ev.de)



Foto: Ingrid Krebs

Annes Fingerpuppenspiel

### Landesverband Huntington-Selbsthilfe NRW

## Huntington-Selbsthilfe NRW – Was war, was wird?

Wie in allen anderen Bereichen hat Corona im letzten Jahr auch unser Leben in der Selbsthilfe in Nordrhein-Westfalen komplett durcheinander gebracht. Keine der geplanten zentralen Veranstaltungen, seien es die Familienseminare, die Angehörigentage, die Jubiläumsfeier oder die gemeinsame Weihnachtsfeier konnte vor Ort stattfinden. Immerhin konnte die Mitgliederversammlung durchgeführt werden. Und auch in den Selbsthilfegruppen wurden kreative Lösungen für das Miteinander gefunden. Viele fanden und finden immer noch über das Internet statt. Nicht optimal aber besser als gar nichts.

Zudem waren unsere Mitglieder in vielen Formen in Kontakt. Nicht nur die Telefongespräche der Vorstandsmitglieder, der Selbsthilfegruppenleiter\*innen und aller anderen Aktiven vervielfältigten sich in dieser Zeit. Auch in WhatsApp-Gruppen festigten viele Beiträge



Foto: Anne Wroben

Gemeinsames Basteln

den Zusammenhalt der Familien. So gab es während der ausgefallenen Seminare viele der Inhalte über das Internet: Basteltipps, Rätsel, Musik zum Mitsingen oder Gymnastik- und Geschicklichkeitsübungen.

Dieses Jahr stellen sich die Anforderungen fast wieder genauso: Wir haben eigentlich ein normales Jahr geplant, aber wir zittern, dass uns die Pandemie wieder einen Strich durch die Rechnung machen könnte. Dennoch sind wir optimistisch, dass wir uns bald wieder treffen dürfen.



Am Strand von Norderney  
(Foto: Caritas Gesundheitszentrum für Familien Norderney GmbH)

Da ist zunächst das Familienseminar auf Norderney vom 5. bis 12. Juni, das, wenn es stattfinden darf, wieder viele Angehörige und Erkrankte zusammenbringen wird.

Wir werden im Caritas Gästehaus Inseloase wohnen. Wir werden in Einzel- und Doppelzimmern untergebracht

sein. Die Zimmer für die Kranken sind weitgehend behindertengerecht eingerichtet. Insgesamt ist die gesamte Anlage weitgehend behindertengerecht konzipiert. Dieses Seminar ist ausgebucht.



Foto: Caritas Gesundheitszentrum für Familien Norderney GmbH

Gästehaus Inseloase

Im Herbst, vom 11. bis 16. Oktober fahren wir nach Lemele in den Niederlanden. Wir haben dort das Haus Hallehuis gemietet.



Foto: Richard Hegewald

Haus Hallehuis

Wir werden in Einzel-, 2- und Dreibettzimmern untergebracht sein. Die Zimmer für die Kranken sind vollständig behindertengerecht eingerichtet. Die gesamte Anlage ist behindertengerecht. Für dieses Seminar gibt es noch freie Plätze. Anmeldeschluss ist der 31. August 2021.

Die Huntington-Selbsthilfe NRW e.V. wurde letztes Jahr 35 Jahre alt. Das wollten wir mit einer Jubiläumsfeier begehen. Wir haben vor, dies im Sommer nachzuholen.

Am 5. September 2021 soll in Bochum die Mitgliederversammlung der Huntington-Selbsthilfe NRW e.V. abgehalten werden und traditionell am 2. Advent, am 5. Dezember 2020 soll auch wieder unsere Weihnachtsfeier in Bochum stattfinden.

Richard Hegewald

## Kontakte

### Kontakte für junge Leute

#### Bayern:

Linda (\*1996), Würzburg/Franken,  
[franken-jugend@dhh-ev.de](mailto:franken-jugend@dhh-ev.de)

#### Berlin-Brandenburg:

Nadine (\*1990), Berlin, 1 Sohn, Büro-  
 kraft, Hobbys: Pferd, [berlin-jugend@dhh-ev.de](mailto:berlin-jugend@dhh-ev.de)

#### Hessen:

Anne (\*1987), Marburg (Lahn), [hessen-jugend@dhh-ev.de](mailto:hessen-jugend@dhh-ev.de)

#### Niedersachsen:

Christina (\*1991), Emsland  
[Emsland-Jugend@dhh-ev.de](mailto:Emsland-Jugend@dhh-ev.de)

#### Nordrhein-Westfalen:

Clara (\*1993), Köln/Bonn, Einbindung  
 in HDYO, z.B. Sommercamp, Jugend-  
 konferenzen, Übersetzungen; Hobbys:  
 Lesen, Sport, Huntington-Hilfe,  
[koeln-bonn-jugend@dhh-ev.de](mailto:koeln-bonn-jugend@dhh-ev.de)

Isa (\*1989), Mönchengladbach und  
 Umgebung, für alle Fragen zum  
 Kinderwunsch,  
[kinderwunsch@dhh-ev.de](mailto:kinderwunsch@dhh-ev.de)

Jacqueline (\*1995), Bochum, [bochum-jugend@dhh-ev.de](mailto:bochum-jugend@dhh-ev.de)

Lisa (\*1987), Remscheid, [jugend@dhh-ev.de](mailto:jugend@dhh-ev.de)

Ronja (\*1993), Düsseldorf, [duesseldorf-jugend@dhh-ev.de](mailto:duesseldorf-jugend@dhh-ev.de)

#### Rheinland-Pfalz:

Alina (\*1991), Mainz,  
 Rhein-Main-Gebiet,  
[rhein-main-jugend@dhh-ev.de](mailto:rhein-main-jugend@dhh-ev.de)

### Selbsthilfegruppen für junge Leute

**50668 Köln und 53111 Bonn**  
 Gruppe für junge Leute (0-35) in  
 Köln/Bonn; Ort und Termin bei Clara  
 erfragen unter  
[koeln-bonn-jugend@dhh-ev.de](mailto:koeln-bonn-jugend@dhh-ev.de)

**44789 Bochum**  
 Gruppe für junge Leute (0-35) in  
 Bochum und Umgebung, Ort und  
 Termin bei Jacqueline erfragen unter  
[bochum-jugend@dhh-ev.de](mailto:bochum-jugend@dhh-ev.de)

### DHH Family & Co und DHH-Teens

E-Mail: [family-and-kids@dhh-ev.de](mailto:family-and-kids@dhh-ev.de)  
 und mobil unter 0176 38737743

Weitere Informationen auf unserer  
 Internetseite unter [DHH-Jugend | Deutsche Huntington-Hilfe e.V.](#)  
 Lisa und Sonja

## Häufige Fragen an die DHH-Geschäftsstelle

Bei Fragen rund um die Huntington-Krankheit können sich sowohl Mitglieder der DHH als auch Nicht-Mitglieder per E-Mail, Telefon, Brief oder auch persönlich an die Geschäfts- und Beratungsstelle in Duisburg wenden. Anfragen werden stets vertraulich behandelt.

Die Huntington-Experten werden oft mit einbezogen, um die passende Antwort für den jeweiligen Einzelfall zu finden. Im Nachgang werden die Antworten zu wiederkehrenden Fragen für alle allgemeingültig aufbereitet. Diese sind auf der DHH-Webseite zu finden unter "Service" – "Häufige Fragen": <http://dhh-ev.de/Haeufige-Fragen>

Oder QR-Code scannen:



In den letzten Monaten wurden wieder FAQs (Abkürzung für Frequently Asked Questions – auf Deutsch: oft gestellte Fragen – online bereitgestellt. Eine Auswahl finden Sie hier:

### Was sind Heilmittel?

Zu den Heilmitteln gehören medizinische Leistungen aus den Bereichen Physiotherapie, Ergotherapie, Podologische Therapie, Ernährungstherapie und Stimm-, Sprech-, Sprach- und Schlucktherapie (Logopädie). An der Heilmittelverordnung orientieren sich Ärzte, die ein oder mehrere Heilmittel verschreiben wollen. Die Krankenkasse übernimmt die Kosten, wenn das Heilmittel ärztlich verordnet wurde. Die Zuzahlung für die Patienten beträgt in der Regel 10 Euro pro Verordnung plus 10% der Heilmittelkosten. Der Patient muss in der Regel Zuzahlungen in Höhe von 10 € pro Verordnung plus 10 % der Heilmittelkosten leisten.

Seit dem 01.01.2021 gibt es eine neue Heilmittelverordnung. Mehr zu den

Heilmitteln finden Sie auf der Seite der Kassenärztlichen Bundesvereinigung (<https://www.kbv.de/html/heilmittel.php>) oder der Seite des Deutschen Medizinischen Zentrum (DMRZ) (<https://www.dmrz.de/wissen/ratgeber/heilmittelverordnung#c6226>).

**Mein Einkommen ist leider sehr niedrig, so dass ich mir den DHH-Mitgliedsbeitrag in Höhe von 99 Euro nicht leisten kann.**

### Muss ich kündigen?

Nein! Sollten Sie den vollen Mitgliedsbeitrag nicht aufbringen können, kann dieser aus begründetem Anlass reduziert werden. Melden Sie bitte in der Geschäftsstelle, dort wird man Ihnen helfen, die Beitragsfrage in Ihrem Sinne zu regeln. Niemandem wird aus finanziellen Gründen die Mitgliedschaft verwehrt oder gar gekündigt.

**Mein Lebenspartner hat Probleme beim Schlucken. Ist hier ein Absauggerät sinnvoll?**

Ein Absauggerät kann in solchen Fällen nützlich sein. Jedoch muss man in der Lage sein es zu bedienen, da es für den Betroffenen unangenehm bis schmerzhaft sein kann. Es empfiehlt sich, einen Logopäden oder eine Logopädin hinzuziehen.

Schluckstörungen sind ein Thema, das in unserer Broschüre "Therapien ohne Pillen" ausführlich behandelt wird. Es wird der Schluckvorgang, die auftretenden Probleme bei Huntington-Patienten beschrieben und

es finden sich Tipps z. B. zur Nahrung und dem Umgang mit auftretenden Schluckproblemen.

Die Broschüre Therapien ohne Pillen kann hier <https://www.dhh-ev.de/Literatur> und in der Geschäftsstelle bestellt werden.



### **Kann man mit einem Ehevertrag verhindern, dass der Ehepartner später für die Pflegekosten aufkommt?**

Nein! Die Ehe verpflichtet Ehepaare (§ 1360 BGB) gemeinsam für den ehelichen Unterhalt aufzukommen. Hierzu gehören die Aufwendungen für die Grundbedürfnisse, wie z. B. die Unterkunft, Bekleidung, Körperpflege, und Gesundheit. Diese Aufwendungen fallen auch an, wenn einer der Eheleute in einem Heim lebt.



### **Gibt es eine besondere Ernährung für Huntington-Erkrankte?**

Eine gesunde und ausgewogene Ernährung ist nicht nur für Huntington-Patienten vorteilhaft. Von daher sollte immer auf eine gesunde Ernährung geachtet werden. Ein besonderes Problem, das häufig im späteren Verlauf der Erkrankung auftritt, stellt der Gewichtsverlust für den einen oder anderen Patienten dar. Im Verlauf des Krankheitsverlaufes kann daher eine kalorienreiche Ernährung erforderlich werden.

Im fortgeschrittenen Verlauf der Erkrankung kommt es zu Schluckproblemen bei den Betroffenen. Hier sollte man auf die angemessene Zubereitung der Speisen achten. In der Geschäftsstelle können Sie das "Mümmelchen-Kochbuch – Eine Rezeptsammlung für Menschen mit Kau- und Schluckproblemen" (<https://www.dhh-ev.de/m%C3%BCmmelchen-kochbuch>) bestellen. In der Broschüre "Therapien ohne Pillen" (<https://www.dhh-ev.de/therapien-ohne-pillen>)

werden die Themen Schluckprobleme und Logopädie dargestellt. Sprechen Sie mit Ihrem Arzt oder einem Ernährungsberater bei Ernährungsfragen, mit einem Logopäden bei Schluckproblem. Weitere Informationen finden Sie in unserem Informationsblatt zur Ernährung (<https://www.dhh-ev.de/ern%C3%A4hrung>), das Sie sich auf unserer Webseite downloaden können.



### **Wie bekomme ich den Huntingtonsessel?**

Lassen Sie sich den Huntingtonsessel ROM von der Firma Careline von Ihrem Arzt verschreiben. Auf dem Rezept sollte stehen: HMV Nr.: 50.45.06.1001 "Pflegehilfsmittel zur Verminderung der Sturz- und Verletzungsgefahr sowie Erleichterung der Pflege und Erhaltung der Lebensqualität. Mit dem Rezept gehen Sie in ein Sanitätshaus Ihrer Wahl und bestellen den Sessel.



### **Übernimmt die Krankenkasse die Kosten für einen Toilettenstuhl?**

Die Kosten für den Toilettenrollstuhl übernimmt in der Regel die Krankenkasse. Voraussetzung ist, dass Ihr behandelnder Arzt Ihnen ein Rezept für einen solchen Stuhl ausstellt. Mit dem Rezept gehen Sie in das Sanitätshaus Ihrer Wahl und bestellen den Stuhl. Das Sanitätshaus rechnet die Kosten für den Stuhl dann mit Ihrer Krankenkasse ab. Sprechen Sie aber vorher unbedingt mit Ihrer Krankenkasse, denn diese übernehmen die Kosten nur für genehmigte Hilfsmittel. Bei Ihrer Krankenkasse erhalten Sie auch eine Liste der Lieferanten, mit denen Ihre Kasse Verträge für das Hilfsmittel abgeschlossen hat. Hier finden Sie Informationen zum Thema Toilettenstuhl (<https://www.rehadat-hilfsmittel.de/de/suche/?q=Toilettenstuhl>).



### **Wie bekommt man einen Pflegegrad?**

Den Pflegegrad erhalten Sie, wenn Sie bei Ihrer Pflegeversicherung einen Antrag auf Pflegeleistungen stellen. Im Rahmen des Verfahrens werden Sie vom Medizinischen Dienst der Krankenkassen (MDK) begutachtet und dieser entscheidet dann, welchen Pflegegrad Sie erhalten. Im Vorfeld sollten Sie sich auf das Gespräch mit dem MDK vorbereiten. Dabei kann das Führen eines Pflegetagebuches hilfreich sein. Ein solches erhalten Sie bei ihrer Pflegekasse. Vom MDK erhalten Sie vor dem Gesprächstermin einen Auskunftsbogen zur Vorbereitung auf das Gespräch mit dem Medizinischen Dienst (<https://www.mdk-nordrhein.de/fragebogen/>). Füllen Sie diesen so gut wie möglich aus. Bei Fragen scheuen Sie sich nicht, den behandelnden Arzt mit ins Boot zu holen.



### **Kann die HK eine Generation überspringen?**

Nein! Die HK bzw. das Huntington-Gen überspringt keine Generation. Ein Mensch, der das Huntington-Gen nicht hat, kann die Mutation nicht an die nächste Generation weitergeben, d. h. der Nachkömmling wird die HK nicht entwickeln. Ist ein Genträger verstorben, bevor er Symptome entwickelt hat, könnte der Eindruck entstehen, dass die Krankheit eine Generation übersprungen hat (vgl. <http://www.ehdn.org/about-hd/#symptoms>).



### **Haben Sie Informationen für Kinder und Jugendliche aus Huntington-Familien?**

Haben wir! Schauen Sie einmal in unsere Informationsblätter. Hier finden Sie den Beitrag "Huntington für Kinder erklärt", den Sie kostenlos downloaden können.

In unsere Literaturliste finden Sie das Kinderbuch "Paul und die verzauberten Arbeiter", in einer Neuauflage (2021) des Landesverbandes Nord und das Buch "Hab keine Angst" von Michelle Hardt Thompsen (2016). Die Bücher versuchen Hilfestellungen für Kinder anzubieten, um mit den Veränderungen in der Familie umzugehen. Sehr gute Informationen finden Kinder und Jugendliche auf der Webseite der Huntington's Disease Youth Organization ([de.hdyo.org](http://de.hdyo.org)), der weltweiten Huntington-Jugend, die wichtige Informationen für Kinder, Jugendliche und junge Erwachsene, aber auch für Eltern zur Verfügung stellt. Denken Sie daran, mit Ihren Kindern über das Gelesene zu sprechen. Bei der Jugendvertretung ([jugend@dhh-ev.de](mailto:jugend@dhh-ev.de)) der Deutschen Huntington-Hilfe finden Kinder, Jugendliche und junge Erwachsene Ansprechpartner, mit denen man sich vertrauensvoll austauschen kann. Auch in unserer Duisburg Geschäftsstelle finden Sie mit Herrn Pertek einen Ansprechpartner, mit dem Sie über Ihre Fragen reden können.

### Danksagung

Vielen Dank an Jürgen Pertek für die Beantwortung und Aufbereitung dieser Fragen.

### Weitere Fragen

Weitere Informationen, die Ihnen bei der Unterstützung Ihres Angehörigen helfen können, bietet unser Informationsmaterial. Unsere Informationsblätter können Sie unter <https://www.dhh-ev.de/informationsblaetter> downloaden.

Bei Fragen wenden Sie sich bitte an unsere Geschäftsstelle in Duisburg. Diese erreichen Sie von montags bis donnerstags in der Zeit von 8 bis 16 Uhr unter der Rufnummer 0203 22915 oder E-Mail: [dhh@dhh-ev.de](mailto:dhh@dhh-ev.de).

Michaela Winkelmann

## Huntington-Kurier per E-Mail

Bitte prüfen Sie, ob Sie von der gedruckten auf die elektronische Version umsteigen möchten. Um auf den Versand per E-Mail umzustellen, senden Sie bitte eine E-Mail an unsere Geschäftsstelle ([dhh@dhh-ev.de](mailto:dhh@dhh-ev.de)). Von dort erhalten Sie dann die digitale Ausgabe des Huntington-Kuriers – sogar ca. zwei Wochen früher als die gedruckte Ausgabe.

Ihr Vorstand

## Adressenänderungen

Liebe Mitglieder, damit wie Ihnen unsere Post und den Huntington-Kurier zeitnah zustellen können, benötigen wir Ihre aktuelle Adresse. Teilen Sie uns Änderungen bitte möglichst umgehend mit. Rückbuchungen wegen falscher Kontodaten verursachen uns zusätzliche Kosten und Arbeit. Bitte informieren Sie uns, wenn sich Ihre Kontonummer geändert hat, vielen Dank.

Ihr Vorstand



## Spendenbutton auf der DHH-Homepage



Abb.: C.Vogel

Auf unserer Internetseite gibt es einen Spendenbutton. Darüber kann jeder einfach und sicher eine Spende an die Deutsche Huntington-Hilfe e.V. tätigen. Wenn Sie auf den blauen Button in der Kopfzeile ("Jetzt spenden") klicken, werden Sie auf eine Seite bei der Bank für Sozialwirtschaft weitergeleitet. Hier

geben Sie den gewünschten Spendenbetrag und Ihre Kontonummer ein – und Ihre persönlichen Daten für eine Zuwendungsbescheinigung. Die BfS zieht dann das Geld von Ihrem Konto ein, überweist es an die DHH – und benachrichtigt uns bzgl. der Spendenquittung. Wir sind dankbar für jede Spende, die unsere Arbeit ermöglicht!

## Spenden

**Für Spenden zur Unterstützung der Arbeit der DHH sind wir dankbar.** Kontonummer der DHH e.V. IBAN DE38 3702 0500 0000 0019 70 BIC: BFSWDE33XXX (Bank für Sozialwirtschaft Stuttgart)

**Für Zuwendungen an die Huntington-Stiftung** zugunsten der wissenschaftlichen Forschung bedanken wir uns ebenfalls. Die Stiftung finden Sie im Internet: [www.huntington-stiftung.de](http://www.huntington-stiftung.de). Kontonummer der Huntington-Stiftung: IBAN DE65 3702 0500 0000 0018 72 BFSWDE33XXX (Bank für Sozialwirtschaft Essen)

Die **George-Huntington-Stiftung** unterstützt die Familien. Kontonummer der George-Huntington-Stiftung: IBAN DE96 3702 0500 0000 0019 93 BFSWDE33XXX (Bank für Sozialwirtschaft Essen)

## Zuwendungsbescheide

Bei Spenden ab € 200 erhalten Sie eine Zuwendungsbestätigung, vorausgesetzt Ihr Absender ist vollständig angegeben. Für kleinere Beträge reicht der Überweisungsbeleg als Nachweis für das Finanzamt. Zuwendungsbestätigungen für kleinere Beträge verschicken wir nur auf ausdrücklichen Wunsch.

## Informationsmaterial

**B003. Dose/Kreuz/Lohkamp: Huntington-Krankheit - Informationsschrift\***

Allgemeinverständliche Darstellung der Krankheit; Denkanstöße zur genetischen Untersuchung; Kinderwunsch und genetische Diagnostik, Internationale Richtlinien für die präsymptomatische genetische Diagnostik, DHH 2015, Schutzgebühr: gegen Versandkosten

**B008. Wexler, Alice: Wenn Schicksal messbar wird**

Ein Buch über eine Huntington-Familie und die Erforschung der HK (320 Seiten), DHH 2002. Schutzgebühr: 7 Euro (Mitglieder) / 12 Euro (Nichtmitglieder)

**B013. Huntington Society of Canada: Die Juvenile Form der Huntington-Krankheit**

Informationen für Familien, Pflegende und medizinisches Personal. DHH 2011. Schutzgebühr: 2 Euro (Mitglieder) / 3,00 Euro (Nichtmitglieder)

**B010. Huntington Liga Belgien/Deutsche Huntington-Hilfe e. V.: Therapien ohne Pillen**

Physio-, Ergotherapie, Logopädie, Schluckbeschwerden, DHH 2013. Schutzgebühr: gegen Versandkosten (Mitglieder) / 8 Euro (Nichtmitglieder)

**B020. Bonnie Henning: Wie spreche ich mit Kindern über die Huntington-Krankheit**

DHH 2007. Schutzgebühr: 2 Euro (Mitglieder) / 3,50 Euro (Nichtmitglieder)

**B023. Jimmy Pollard: Mach Schnell und Warte**

Ein Begleiter beim Umgang mit kognitiven Fähigkeiten, DHH 2009 und 2014. Schutzgebühr: 7 Euro (Mitglieder) / 12 Euro (Nichtmitglieder)

**B025. Michelle Hardt Thompson: Hab keine Angst**

Hilfestellung zur Erklärung, wie Kinder aus Huntington-Familien mit den Veränderungen in ihrer Familie und den damit verbundenen Gefühlen umgehen können. DHH 2016. Schutzgebühr: 2 Euro (Mitglieder) / 3,50 Euro (Nichtmitglieder)

**B026. Arik C. Johnson, PsyD; Jane S. Paulsen, PhD: Huntington-Betroffene verstehen**

Das erste deutschsprachige Werk, das mögliche Wesensveränderungen der Huntington-Krankheit erläutert und Wege zum Umgang damit. Geeignet für Fachkräfte (Ärzte, Therapeuten, Pflegekräfte) und auch für (pflegende) Angehörige. DHH 2017. Schutzgebühr: 7 Euro (Mitglieder) / 12 Euro (Nichtmitglieder)

**B028. Gizem Görme, Selda Güdük und Gizem Vural; Illustration Zahide Tugce Vural: Paul und die ver-**

**zauberten Arbeiter – Ein Buch für kleine Superhelden in Huntington-Familien**

Hrsg. Huntington Selbsthilfegruppe Bremen, 2017. 2. Aufl. 2020 DHH LV-Norddeutschland e.V. Kinderbuch. Schutzgebühr 10 Euro (Mitglieder) / 15 Euro (Nichtmitglieder).

**B029. Saft C. et al.: Leitlinie Chorea/Morbus Huntington.**

Hrsg. Leitlinien für Diagnostik und Therapie in der Neurologie. 2017. Schutzgebühr 1 Euro (Mitglieder) / 3 Euro (Nichtmitglieder).

**B030. Sonnenfroh, E. et al: A–Z Ein Wegweiser bei wichtigen sozialmedizinischen Themen**

2018. Hrsg. Deutsche Huntington-Hilfe e. V. Der Wegweiser gibt Unterstützung im sozialmedizinischen Bereich. Schutzgebühr: gegen Versandkosten (Mitglieder) / 5 Euro (Nichtmitglieder)

**B031. Bloomfield Hospital: Mentales Wohlbefinden bei der Huntington-Krankheit**

2018. Es werden die mentalen Aspekte (Angstzustände, Stimmungsschwankungen, Depression, Konzentrationsschwierigkeiten und Probleme beim Denken) und Wege zum Umgang mit diesen schwierigen Situationen aufgezeigt. Schutzgebühr: 2 Euro (Mitglieder) / 4 Euro (Nichtmitglieder)

**B032. Winkelmann, Michaela: Huntington-Info\***

Hrsg. Deutsche Huntington-Hilfe e.V. 2019. Übersicht aller Broschüren über die Huntington-Krankheit der DHH. Schutzgebühr: gegen Versandkosten

**B034. Huntington's Disease Society of America / Deutsche Huntington-Hilfe – Leitfaden für Huntington-Familien**

2019. Hrsg. Deutsche Huntington-Hilfe e.V. Dieses Buch beschreibt Alltagsprobleme im Umgang mit der Huntington-Krankheit und zeigt Lösungsvorschläge auf. Schutzgebühr: 7 Euro (Mitglieder) / 12 Euro (Nichtmitglieder)

**B035. Mun-H-Center, Göteborg: Mundhygieneprogramm Huntington-Krankheit**

2020. Wichtige Erfahrungen der Facharztpraxis für Krankenhauszahnpflege, Orale Medizin, Odontologen über die Behandlung von Huntington-Patienten. Schutzgebühr: 0 Euro (Mitglieder) / 1 Euro (Nichtmitglieder)

Zu den angegebenen Preisen kommen Versandkosten in Höhe von 2,70 Euro hinzu, bei Paketen (Inland) und Sendungen ins Ausland die Gebühren lt. Post AG. Die mit \* gekennzeichneten Hefte wurden mit öffentlichen Mitteln gefördert. Hierfür wird lediglich die o. g. Versandkostenpauschale berechnet. Bestellungen von Informationsmaterial bitte per Post, Fax oder per E-Mail ([dhh@dhh-ev.de](mailto:dhh@dhh-ev.de)) an unsere Geschäftsstelle.

Weiteres Informationsmaterial finden Sie auf unserer Homepage unter <https://www.dhh-ev.de/Literatur>.

## Zentren für die Forschung, Behandlung und Beratung der Huntington-Krankheit in Deutschland

### Huntington-Zentrum Norddeutschland

Fachklinik Heiligenhafen  
AMEOS Klinikum  
Friedrich-Ebert-Straße 100  
23774 Heiligenhafen  
Station 2/1, Neuropsychiatrie  
Tel.: 04362 91-1336 oder 91-1241  
[whei.psy@heiligenhafen.ameos.de](mailto:whei.psy@heiligenhafen.ameos.de)

### Huntington-Zentrum NRW Bochum, St. Josef-Hospital

Huntington-Ambulanz (Prof. Saft),  
Tel.: 0234 509-2420  
Huntington-Station (NR 1)  
Tel.: 0234 509-2400  
Bei psychosozialen Fragen,  
Sozialarbeiter Jürgen Blumenschein  
(Mittwoch von 9:00-11:00 Uhr)  
Tel.: 0234 509-2428  
Notfalltelefon: 0234 509-1  
Humangenetische Beratung  
Gebäude der Ruhr-Universität  
Tel.: 0234 322 3839  
Forschungszentrum/Studien  
(Prof. Saft), Tel.: 0234 509-2703

### Huntington-Zentrum Süd

Isar-Amper-Klinikum,  
Klinik Taufkirchen (Vils)  
84416 Taufkirchen-Vils  
Tel.: 08084 934-417 Studienkoordination  
Tel.: 08084 934-242 Station N1 (stationär)  
Tel.: 08084 934-455 Institutsambulanz

### Ludwig-Maximilians-Universität München

Friedrich-Baur-Institut an der  
Neurologischen Klinik  
Neurogenetische Ambulanz  
Prof. Dr. med. Thomas Klopstock  
Ziemssenstr. 1, 80336 München  
Tel.: 089 4400-57400

### Universitätsklinikum Carl Gustav Carus

Klinik und Poliklinik für Neurologie  
Fetscherstr. 74, Gebäude 27  
1. Etage, Leitstelle F  
01307 Dresden  
Tel.: 0351 4582 Tel: 0351/4583876

### Charité Berlin

Neurologische Poliklinik  
Eike Jakob Spruth  
Campus Mitte, Charitéplatz 1  
10117 Berlin  
Tel.: 030 4505-17172  
Mo-Fr 11-12 Uhr

### ASKLEPIOS

Klinik Hamburg-Harburg  
Dr. Saß  
Eißendorfer Pferdeweg 52  
21075 Hamburg  
Tel.: 040 1818862645

### Huntington-Zentrum Universität zu Lübeck

CBBM, AG Münchau,  
Institut für Neurogenetik  
Jenny Schmalfeld /  
Studienkoordinatorin Bewegungsstö-  
rungen und Neuropsychiatrie  
Marie-Curie-Straße, 2. Stock  
23562 Lübeck  
Tel.: 0451 31018214/15  
[jenny.schmalfeld@neuro.uni-luebeck.de](mailto:jenny.schmalfeld@neuro.uni-luebeck.de)

### Medizinische Hochschule Hannover

Neurologische Klinik  
Carl-Neuberg-Str. 1  
30625 Hannover  
Tel.: 0511 5323122

### Paracelsus-Elena-Klinik Kassel

Zentrum für Bewegungsstörungen und  
Schlafmedizin  
Prof. Dr. med. Jens Ebentheuer  
Klinikstraße 16  
34128 Kassel  
Tel.: 0561 6009-107

### Vitos Klinik für Psychiatrie Marburg

Cappeler Straße 98  
35039 Marburg  
Tel.: 06421 9392480

### Heinrich-Heine-Universität Düsseldorf

Zentrum für Bewegungsstörungen und  
Neuromodulation  
Huntington-Sprechstunde (dienstags)  
Dr. Christian Hartmann  
Dr. Herwig Lange  
Moorenstr. 5, Gebäude ZOM II (Zent-  
rum für Operative Medizin), Gebäude:  
11.54.01.030  
40225 Düsseldorf  
Tel.: 0221 8118076

### Dr. Herwig Lange

Gesundheitszentrum Lang GmbH  
Abt. Neurologie im Gesundheitszentrum  
Krengelstraße 116-118  
46539 Dinslaken  
Tel.: 02064 4137-688 und 0171 2411288

### George-Huntington-Institut Münster

Neurologie Ambulanz  
Dr. med. R. Reilmann  
R&D-Campus / Technologiepark Münster  
Wilhelm-Schickard-Str. 15  
48149 Münster  
Tel.: 0251 788788-0

### Huntington-Ambulanz Universitätsklinikum Aachen

Neurologische Klinik  
Pauwelstraße 30  
52074 Aachen  
Tel.: 0241 8089601

### Universitätsklinikum Bonn

Klinik für Neurodegenerative Erkrankun-  
gen und Gerontopsychiatrie  
PD Dr. med. Patrick Weydt  
Venusberg Campus 1  
53127 Bonn  
Tel: 0228 287-13775  
[huntington-ambulanz@ukbonn.de](mailto:huntington-ambulanz@ukbonn.de)

### Universitätsmedizin Mainz Huntington Forschungs- und Behandlungszentrum

Univ.-Prof. Dr. med. Susann Schweiger  
Langenbeckstr. 1  
55131 Mainz  
Tel.: 06131 17-3871

### Universitätsklinik Freiburg

Abteilung Neurologie  
Breisacher Straße 64  
79106 Freiburg  
Tel.: 0761 27053570

### Technische Universität München

Abteilung Neurologie  
Ismaninger Str. 2  
81675 München  
Tel.: 089 41404693

### Universitätsklinikum Ulm Huntington-Ambulanz

Oberer Eselsberg 45/1  
89081 Ulm  
Tel.: 0731 50063-080

### Universität Erlangen

Ableitung Molekulare Neurologie  
Schwabachanlage 6  
91054 Erlangen  
Tel.: 09131 8539324

### Universität Regensburg

Klinik und Poliklinik für Neurologie  
PD Dr. Zacharias Kohl  
Universitätsstr. 84  
93053 Regensburg  
Tel.: 0941-941-3003  
[poliklinik.neurologie@medbo.de](mailto:poliklinik.neurologie@medbo.de)

### Universitätsklinik Würzburg Neurologie

Josef-Schneider-Str. 11  
97080 Würzburg  
Tel.: 0931 20123510

### Klinikum Chemnitz

Psychiatrische Institutsambulanz am  
Standort Küchwald  
Psycho-/Neuro-Genetische Sprech-  
stunde  
Dr. Friedmar R. Kreuz, M. A.  
Bürgerstraße 2 | Haus 15  
09113 Chemnitz  
Tel.: 0371 333-43686

Eine Bitte an unsere Kontaktpersonen:  
Sollte sich Ihre Anschrift oder Telefonnummer ändern, so teilen Sie dies der Geschäftsstelle möglichst schriftlich mit, gern auch als E-Mail ([dhh@dhh-ev.de](mailto:dhh@dhh-ev.de)).

Von der Anordnung zur Reduzierung sozialer Kontakte aufgrund der Corona-Pandemie sind auch die Treffen der Selbsthilfegruppen betroffen. Daher erkundigen Sie sich bitte telefonisch bei den Ansprechpersonen, ob die Treffen stattfinden.

### Was bieten Selbsthilfegruppen?

Gespräche zur emotionalen Unterstützung, Klärung der eigenen Gefühle und deren Auswirkung auf das Leben der Familie, gegenseitige praktische Hilfe, Information zu sozialen und medizinischen Fragen. Die einzelnen Gruppen gestalten entsprechend der Bedürfnisse und Interessen ihrer Mitglieder die Zusammenkünfte gemeinsam und entscheiden über ihre Schwerpunkte und Häufigkeiten ihrer Treffen.

## Mitgliedschaft

Den Mitgliedsantrag finden Sie auf der Webseite unter:  
[https://dhh-ev.de/Mitglied\\_werden](https://dhh-ev.de/Mitglied_werden), oder scannen Sie den QR-Code:



Alternativ senden Sie diesen Abschnitt ausgefüllt an die Geschäftsstelle:  
Deutsche Huntington-Hilfe e.V., Falkstr. 73-77, 47058 Duisburg

*Bitte senden Sie mir einen Mitgliedsantrag an folgende Adresse:*

Name, Vorname:

Straße, Hausnummer:

PLZ, Wohnort:

E-Mail-Adresse:

Der Mitgliedsbeitrag beträgt pro Jahr:  
99,- Euro für Einzelmitglieder, 121,- Euro bei Familienmitgliedschaft (gilt für Familienangehörige mit gleicher Wohnanschrift, davon ausgenommen sind Kinder mit abweichender Anschrift, wenn sie sich in der Ausbildung befinden),

ab 110,- Euro für Fördermitglieder.  
Die Mitgliedsbeiträge sind Richtsätze, die jederzeit freiwillig überschritten, jedoch aus begründetem Anlass und auf formlosen Antrag beim Bundes- oder Landesverband auch teilweise oder ganz erlassen werden können.

## Impressum

**Herausgeber:**  
Deutsche Huntington-Hilfe e.V.

V.i.S.d.P.:  
Michaela Winkelmann, Vorsitzende  
Luckenstr. 28, 70794 Filderstadt  
Tel.: 0711 50422172  
E-Mail: [m.winkelmann@dhh-ev.de](mailto:m.winkelmann@dhh-ev.de)

**Redaktionsanschrift:**  
Deutsche Huntington-Hilfe e.V.  
Falkstraße 73-77, 47058 Duisburg  
Tel.: 0203 22915, Fax: 0203 22925  
E-Mail: [redaktion@dhh-ev.de](mailto:redaktion@dhh-ev.de)

**Verantwortliche Redakteurin:**  
Carmen Vogel  
Tel.: 0421 232566  
E-Mail: [redaktion@dhh-ev.de](mailto:redaktion@dhh-ev.de)

**Layout:**  
Gabriele Stautner, artifox  
E-Mail: [stautner@artifox.com](mailto:stautner@artifox.com)

**Wissenschaftlicher Redakteur:**  
Dr. Ralf Reilmann  
Tel.: 0251 788788-0  
E-Mail: [ralf.reilmann@ghi-muenster.de](mailto:ralf.reilmann@ghi-muenster.de)

**Namentlich gekennzeichnete Artikel**  
geben die Meinung des Verfassers wieder, diese Meinung muss nicht mit der Ansicht der Redaktion identisch sein. Die Redaktion behält sich vor, aus Platzmangel Beiträge sinngemäß zu kürzen. Für unaufgeforderte eingesandte Artikel gibt die Redaktion keine Gewähr. Die Rechte für die Beiträge liegen bei der DHH e.V. Nachdruck und Vervielfältigung nur mit schriftlicher Genehmigung. Belegexemplar erbeten.

**Redaktionsschluss  
für die Ausgabe 3/2021  
ist der 15.07.2021**

Artikel sowie Ankündigungen für den Huntington-Kurier erbitten wir per E-Mail an die Redaktion [redaktion@dhh-ev.de](mailto:redaktion@dhh-ev.de)

**Druckerei:**  
F 56 Druckdienstleistungen e.K.  
In den Lindeschen 8, 89129 Langenau  
Auflage: 1.700 Exemplare

Erscheinungsweise: vierteljährlich

Versandort/Nachbestellung:  
Anschrift der DHH e.V.

Einzelverkaufspreis des Huntington-Kuriers: 2 Euro plus Versandkosten. Verkaufspreis ist für Mitglieder mit dem Beitrag abgegolten. Der Bezug des Huntington-Kuriers ist nur über die Mitgliedschaft und nicht im Abonnement möglich.