

TRACK-FA NEWSLETTER

Ausgabe 05 – August 2024

TRACK-FA

TRACK-FA ist eine Beobachtungsstudie zur Untersuchung von Hirn- und Rückenmarkveränderungen bei Personen mit einer Friedreich-Ataxie (FA). Wir verfügen über ein hervorragendes Team von Forschenden aus Australien, den USA, Deutschland, Brasilien und Kanada und arbeiten mit globalen Industriepartnerinnen und -partnern zusammen. Unser Ziel ist es, Bildgebungsmaße als Biomarker für den Erkrankungsverlauf zu untersuchen, damit diese in zukünftigen Therapiestudien eingesetzt werden können.

Auf einen Blick

Im August 2024 nähern wir uns dem Ende von Studienbesuch 2. Unsere aktuellen Rekrutierungszahlen sind in Abbildung 1 dargestellt.

- 229 Teilnehmende haben Studienbesuch 2 abgeschlossen.
- 107 Teilnehmende haben Studienbesuch 3 abgeschlossen.

Bei jedem Studienbesuch werden folgende Untersuchungen durchgeführt:

- MRT-Untersuchungen
- klinische Untersuchungen
- Sprachuntersuchungen
- kognitive Testungen und Fragebögen
- Blutentnahmen

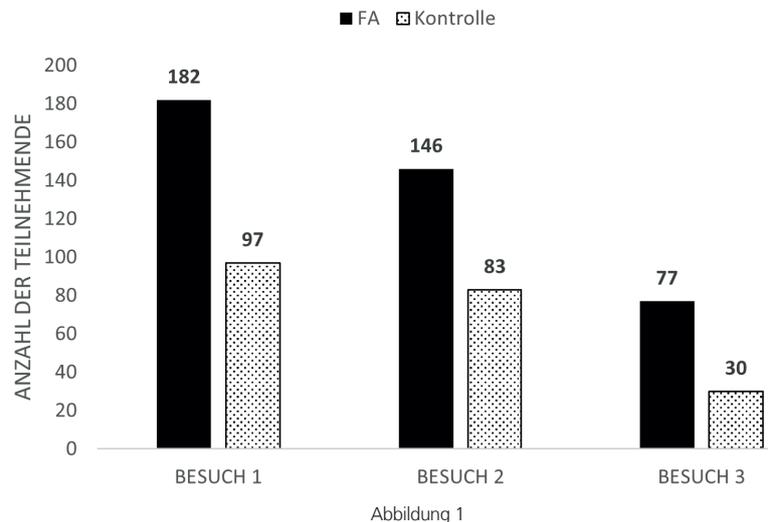
Wir planen den Abschluss von:

- Studienbesuch 2 bis Oktober 2024
- Studienbesuch 3 bis Oktober 2025

Wir danken allen, die weiterhin an TRACK-FA teilnehmen und zu diesem wichtigen Datensatz beitragen!



Anzahl der TRACK-FA-Teilnehmenden, die die Studienbesuche 1, 2 und 3 bis August 2024 abgeschlossen haben



Ergebnis-Update – was haben wir bisher herausgefunden?

Wir bereiten eine Veröffentlichung vor, um unsere Ergebnisse aus den Basisanalysen (Studienbesuch 1) der TRACK-FA-Kohorte vorzustellen. Unten sehen Sie eine Vorschau auf einige unserer vorläufigen Ergebnisse.

Während viele unserer Messungen Ähnlichkeiten zwischen Personen mit FA und Personen ohne FA (der Kontrollgruppe) zeigen, konzentrieren wir uns auf die Bereiche, die *Unterschiede* zwischen den Gruppen aufweisen, da diese geeignete Biomarker für den Krankheitsverlauf sein könnten. Abbildung 2 zeigt einige der Hauptunterschiede zwischen Personen mit FA im Vergleich zu Personen ohne FA.



Unterschiede im Gehirn und Rückenmark bei Personen mit FA im Vergleich zu Personen ohne FA

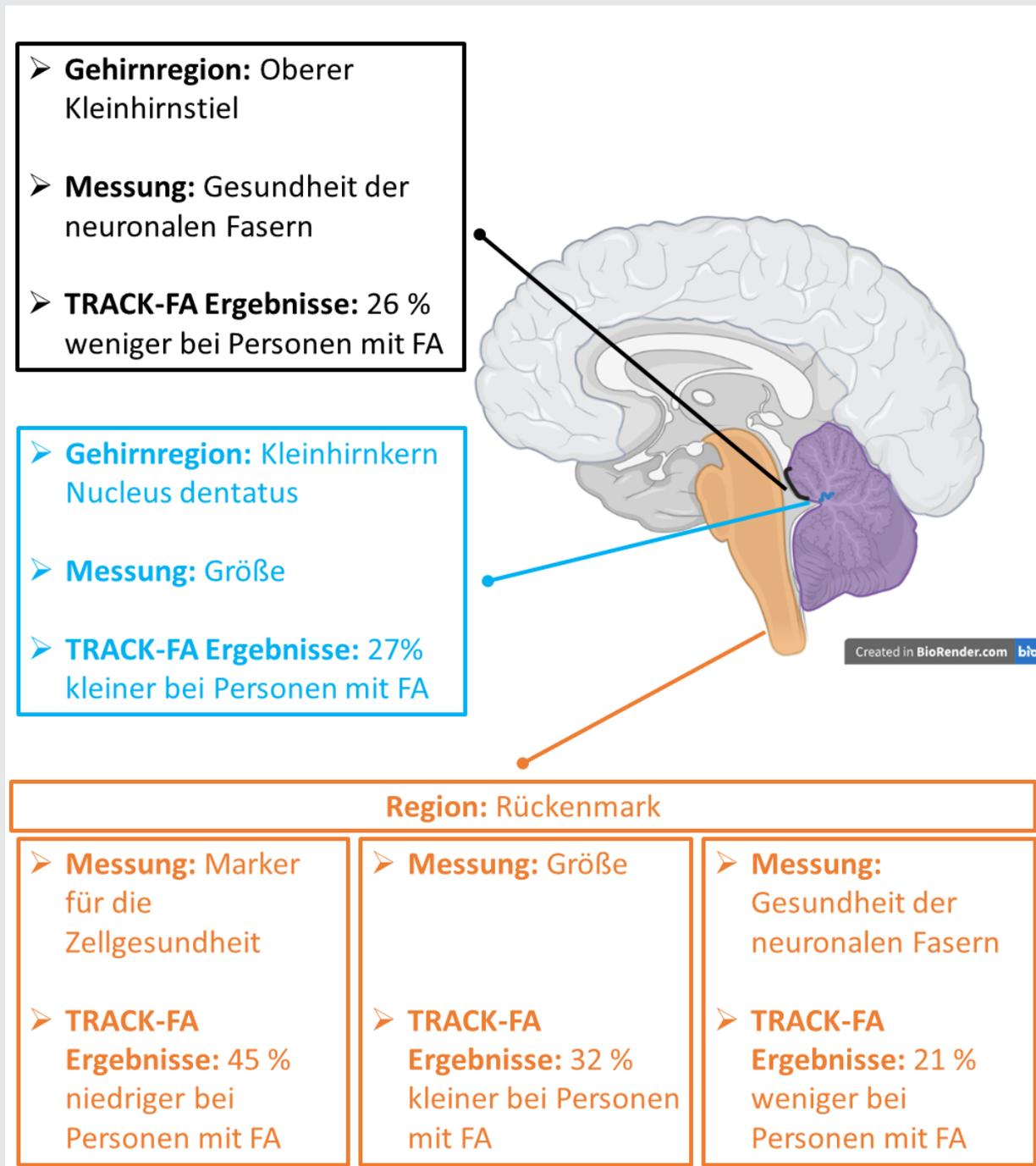


Abbildung 2

Warum sind diese Ergebnisse wichtig?

Wir wissen, dass diese Bereiche eine wichtige Rolle bei Bewegung und Gleichgewicht spielen. Das Verständnis wie FA diese Bereiche beeinflusst, hilft Forschenden zu erkennen, ob aktuelle oder zukünftige Therapien dazu beitragen können, Einfluss auf die Verbindungen oder Größe bestimmter Regionen des Gehirns und Rückenmarks zu nehmen.

Welche TRACK-FA-Messungen zeigen bereits im Kindesalter Unterschiede zwischen Personen mit und ohne FA?

TRACK-FA ist die erste multimodale Bildgebungsstudie, die sowohl Kinder als auch Erwachsene im Alter von 5 bis über 40 Jahren umfasst. Der TRACK-FA-Datensatz enthält sehr junge Teilnehmende mit FA, wobei etwa 10 % der Teilnehmenden 10 Jahre oder jünger sind. Dies ermöglicht uns, Unterschiede bereits sehr früh in der Krankheitsentwicklung zu identifizieren.

Durch die Auswertung der TRACK-FA-Daten von Besuch 1 und den Vergleich von Personen mit FA und Personen ohne FA zeigen die ersten Ergebnisse:

- Für einige Messungen – wie die Größe des Rückenmarks – können Unterschiede bereits bei sehr jungen Kindern festgestellt werden, die sich mit zunehmendem Alter weiter verstärken, wie in Abbildung 3 dargestellt.
- Für andere Messungen im Gehirn können Unterschiede erst später bei älteren Kindern oder Erwachsenen erkannt werden.

Größe des Rückenmarks mit zunehmendem Alter bei Personen mit FA im Vergleich zu Personen ohne FA

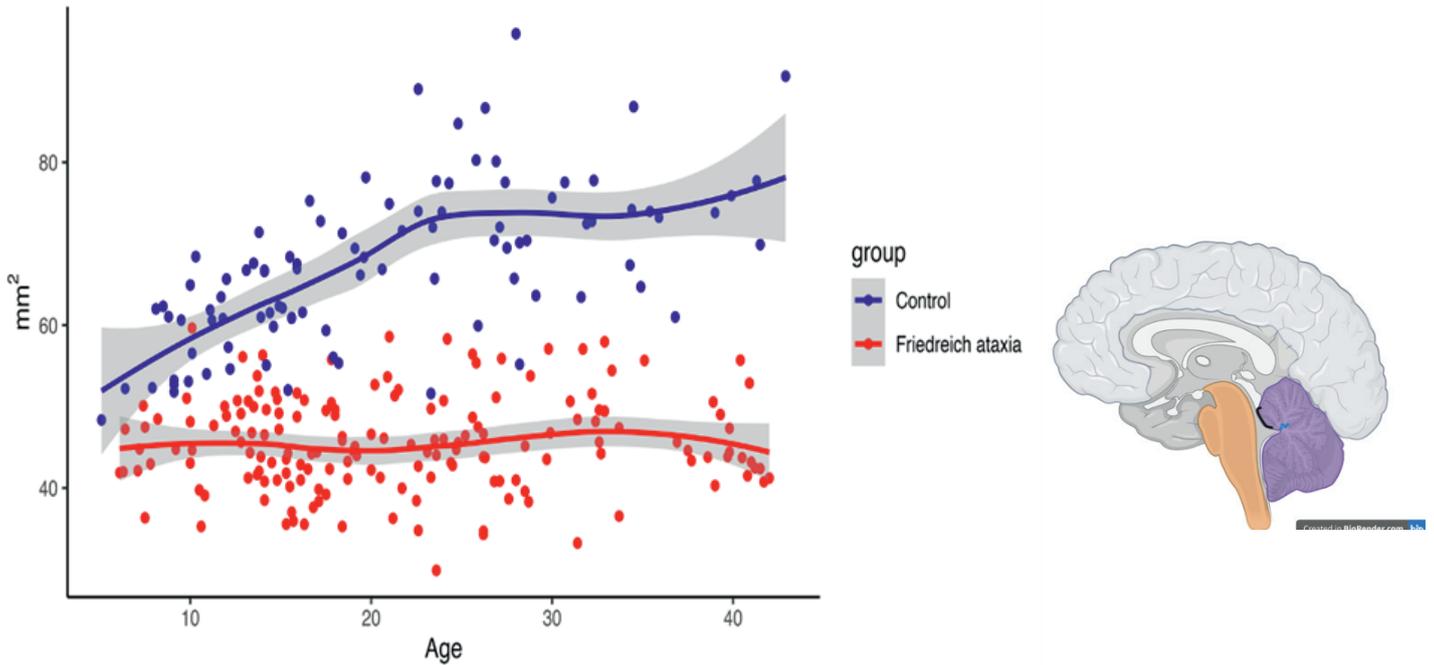


Abbildung 3: Größe (Querschnittsfläche) des zervikalen Rückenmarks bei Personen mit und ohne FA in Abhängigkeit vom Alter. Die Ergebnisse zeigen, dass die Größe des Rückenmarks bei Personen ohne FA während der Kindheit stetig zunimmt, während sie bei Personen mit FA nicht mit dem Alter zunimmt.

Warum sind diese Ergebnisse wichtig?

Zu untersuchen, wie sich diese Unterschiede im Laufe der Zeit bei nachfolgenden Besuchen verändern, wird sehr wichtig sein. Dies wird dabei helfen, festzustellen, ob diese Unterschiede als wirksame Endpunkte für klinische Studien mit Kindern dienen können.

Lernen Sie unsere TRACK-FA-Teammitglieder kennen



Name: Prof. Pierre-Gilles Henry

TRACK-FA-Standort: Universität von Minnesota (Minneapolis, Minnesota, USA)

Rolle bei TRACK-FA:

Ich bin der koordinierende Hauptprüfer für Bildgebung bei TRACK-FA und arbeite zusammen mit Christophe Lenglet, dem Hauptprüfer für die Universität von Minnesota. Meine Hauptaufgabe ist die Koordination aller Bildgebungsaktivitäten an allen sieben Standorten, um die bestmöglichen Bilddaten zu erhalten. TRACK-FA ist eine große Teamleistung!

Höhepunkte von TRACK-FA bisher:

Besonders an TRACK-FA ist, dass wir erstmals große Datenmengen sammeln, die den gesamten Altersbereich von kleinen Kindern über Jugendliche bis hin zu Erwachsenen abdecken: Das Alter der TRACK-FA-Teilnehmer reicht von 5 bis 55 Jahren. Die Bildgebungsdaten aus MRT-Untersuchungen zeigen, wie sich die Entwicklung des Nervensystems bei FA von der normalen Entwicklung unterscheidet. Beispielsweise sehen wir, dass bei FA die meisten Teile des Gehirns normal entwickelt sind, aber das Rückenmark und der Hirnstamm (der das Rückenmark mit dem Gehirn verbindet) anscheinend nicht vollständig ausgebildet werden. Dies ist entscheidende Information für Pharmaunternehmen, die potenzielle Behandlungen entwickeln.

Was haben Sie durch Ihre Teilnahme an TRACK-FA gelernt?

Ich habe gelernt, was möglich ist, wenn viele talentierte Menschen über vier Kontinente hinweg ihre Kräfte bündeln, um ein gemeinsames Ziel zu erreichen. Von Anfang an gab es den starken Wunsch der Forschenden, zusammenzuarbeiten und unser Fachwissen zu vereinen, um etwas Großes zu erreichen und einen Unterschied bei FA zu machen. Ich habe auch gelernt, wie wichtig es ist, eine Organisation wie FARA zu haben, die die Gemeinschaft zusammenbringt und Forschungsbemühungen sowie Mitteleinwerbungen vorantreibt. TRACK-FA wäre ohne FARA nicht möglich gewesen!

Was haben Sie von den TRACK-FA-Teilnehmenden gelernt?

Ich habe 2013 mit der Arbeit an FA begonnen und war sofort beeindruckt, wie besonders die FA-Gemeinschaft ist. Ich genieße es sehr, Studienteilnehmende und ihre Familien zu treffen. Die FA-Gemeinschaft beteiligt sich sehr aktiv an der Forschung.

Erzählen Sie uns etwas über sich:

Ich fahre gerne Ski, schwimme, laufe und bin generell gerne in der Natur. Ich reise gerne in verschiedene Länder und lerne andere Kulturen und Sprachen kennen. Im Laufe der Zeit habe ich mehrere Sprachen gelernt, darunter Deutsch, Japanisch und American Sign Language, und ich spreche zwei Sprachen fließend: Französisch (meine Muttersprache) und Englisch (mit einem französischen Akzent!). Ich lese auch sehr gerne: Zwei meiner Lieblingsromane sind *1Q84* von Haruki Murakami und *Die Früchte des Zorns* von John Steinbeck.



Rolle in TRACK-FA:

MR-Physiker

Höhepunkte von TRACK-FA bisher:

Jedes Mal, wenn eine Patientin oder ein Patient unser Labor betritt, zaubert er ein Lächeln in mein Gesicht. Ihre Anwesenheit erhellt meinen Tag, und ich bin dankbar für die Chance, ihnen helfen zu können. Ebenso erfüllend ist die einzigartige Gelegenheit, die wir haben, die Komplexität dieser schwierigen Krankheit zu erforschen. Indem wir unsere Forschung vertiefen und Fortschritte in unserem Verständnis machen, unternehmen wir wichtige Schritte zur Verbesserung des Lebens vieler Menschen. Unser Ziel ist es, ihr Leben zu verbessern und ihnen die Hoffnung auf eine bessere Zukunft zu geben.

Was haben Sie durch Ihre Teilnahme an TRACK-FA gelernt?

Die Zusammenarbeit mit zahlreichen talentierten Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftlern weltweit verbessert nicht nur die Qualität unserer Arbeit, sondern bietet uns auch die unschätzbare Gelegenheit, von ihrem vielfältigen Fachwissen zu lernen. Der geballte Wissensschatz innerhalb unseres globalen Netzwerks von Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftlern ist wirklich beeindruckend. Er bereichert unsere Bemühungen und fördert unser kontinuierliches Wachstum.

Was haben Sie von den TRACK-FA-Teilnehmenden gelernt?

Es ist bemerkenswert, dass jede Patientin und jeder Patient mit Begeisterung an der Studie teilnimmt und sich auch bei längeren Besuchen nicht aus der Ruhe bringen lässt. Ihr Engagement für die Verbesserung unseres Verständnisses von FA ist unerschütterlich und unterstreicht ihren unschätzbaren Beitrag zur wissenschaftlichen Gemeinschaft. Es ist erwähnenswert, dass diese Patientinnen und Patienten nie allein sind, denn ihre Familien, die ebenso wunderbar und freundlich sind, gehen immer wieder darüber hinaus und spielen eine wichtige Rolle in dieser Studie.

Wie sind Sie in die FA-Forschung eingestiegen?

In meiner Funktion als MR-Physiker habe ich aktiv an verschiedenen klinischen Studien mitgewirkt, die eine Reihe von neurodegenerativen Erkrankungen umfassten. Mein großes Interesse wurde jedoch durch die unterschiedlichen Degenerationsmuster ausgelöst, die für FA spezifisch sind. Das Rückenmark und das Kleinhirn als zentrale Bereiche haben unsere Aufmerksamkeit erregt und uns dazu motiviert, unsere modernsten MRT-Techniken einzusetzen, um umfassende Erkenntnisse aus diesen Regionen zu gewinnen.

Erzählen Sie uns etwas über sich:

In meiner Freizeit verbringe ich gerne viel Zeit mit meinem Sohn Giorgio, der eine große Leidenschaft für Schnellzüge hat. Wann immer wir die Gelegenheit haben, unternehmen wir Tagesausflüge, um gemeinsam nahe gelegene Städte zu erkunden. Außerdem liegt mir der Tennissport am Herzen. Ich spiele gerne Tennis und gebe mein Wissen als Trainer in meinem örtlichen Club weiter.

Name: Dr. Sandro Romanzetti

TRACK-FA Standort: Uniklinik RWTH Aachen, Deutschland

Kontakt zu Ihrem örtlichen TRACK-FA-Standort

Melbourne, Victoria, Australien

Monash-Universität, Melbourne, AUS

Studienkontakt: Louise Corben

E: louise.corben@mcri.edu.au

T: +61 (3) 8341 6228



Campinas, Brasilien

Universität von Campinas, Campinas, Brasilien

Studienkontakt: Cynthia Silveira

E: silveiracynthia89@gmail.com



Gainesville, Florida, USA

Universität von Florida, Gainesville, USA

Studienkontakt: Mackenzi Coker

E: mcoker@peds.ufl.edu

T: (352) 294-8754



Aachen, Germany

Uniklinik RWTH Aachen, Aachen, Germany

Studienkontakt: Ankica Grgic, Nihan Toklucu

E: AtaxieStudien@ukaachen.de

T: +49 (0)241 80-88253

Montreal, Kanada

McGill-Universität, Montreal, Kanada

Studienkontakt: Christian Rampal

E: christian.rampal@mcgill.ca

T: (416)-659-0750



Minneapolis, Minnesota, USA

Universität von Minnesota, Minneapolis, USA

Studienkontakt: Diane Hutter

E: hutte019@umn.edu

T: (612) 625-2350



Philadelphia, Pennsylvania, USA

Children's Hospital of Philadelphia, Philadelphia, USA

Studienkontakt: Willa Mazullo

E: mazulow@chop.edu

T: 267-425-4150



Weitere Informationen

über die TRACK-FA

Studie finden Sie auf

unserer Website



 <https://www.monash.edu/medicine/trackfa>

Weitere Informationen

Monash University
Wellington Road
Clayton, Victoria 3800
Australia

E-Mail: contact@monash.edu

Webseite: monash.edu.au

CRICOS-Anbieter: Monash Universität 00008C