Wiadomości naukowe o chorobie Huntingtona. Prostym językiem.
Napisane przez naukowców. Dla globalnej społeczności HD.

# Wywiad: Graeme Bilbe, Global Head for Neuroscience w Novartis

O badaniach Novartis, HDBuzz rozmowia z Graemem Bilbelem, Global Head for Neuroscience w farmaceutycznym gigancie

Napisany przez Dr Ed Wild czerwiec 14, 2011
Zredagowany przez Dr Jeff Carroll; Przetłumaczony przez Arkadiusz Szatkowski
Po raz pierwszy opublikowany marzec 14, 2011

---

*Novartis - jedna z największych na świecie firm farmaceutycznych, od pięciu lat pracuje nad lekiem na chorobę Huntingtona. O dokonanych postępach HDBuzz rozmawiał z Graemem Bilbelem (Global Head for Neuroscience w Novartis).*

## Firmy farmaceutyczne nie dbają o chorobę Huntingtona, prawda?

Zapytaj jakiegokolwiek naukowca, który regularnie uczestniczy w konferencjach poświęconych chorobie Huntingtona, a usłyszysz o wyjątkowym duchu współpracy i współdziałania globalnej naukowej społeczności HD i bliskich stosunkach między rodzinami HD, lekarzami i naukowcami pracującymi nad znalezieniem leku.

Zaangażowanie przemysłu farmaceutycznego w badania nad chorobą Huntingtona w przeszłości było niewielkie. Firmy farmaceutyczne wypracowały nieco renomy głównie zainteresowaniem chorobami powszechnymi, które mogą okazać się najbardziej lukratywne. Istnieje nawet nazwa - ‘choroby sieroce’ - tak rzadkie, że dla firm farmaceutycznych, z finansowego punktu widzenia, zajmowanie się nimi

nie ma sensu.

Graeme Bilbe, Global Head for Neuroscience w Novartis

Jeżeli chodzi o chorobę Huntingtona w ciągu ostatnich kilku lat zaczęło się to zmieniać. Firmy farmaceutyczne coraz bardziej interesują się chorobą Huntingtona, a niektóre zaczęły przeznaczać znaczne środki na opracowanie leczenia. Jedną z takich firm jest Novartis - piąta co do wielkości firma farmaceutyczna na świecie, według znawców rynku - najlepsza w wytwarzaniu nowych, skutecznych leków. Novartis ma zespół naukowców pracujących nad chorobą Huntingtona od pięciu lat. Jak zobaczymy, wykonali imponujący krok naprzód.

Na ostatniej konferencji CHDI w Palm Springs, HDBuzz spotkał się z Dr Graeme Bilbe (Global Head of Neuroscience w Novartis), aby dowiedzieć się więcej o programie badań Novartis nad chorobą Huntingtona.

## Dlaczego Novartis pracuje nad HD?

Rozmowę z Bilbe zaczęliśmy od pytania, dlaczego Novartis zaangażował się w badania choroby Huntingtona, gdy finansowo bardziej rozsądnym może wydawać się praca nad bardziej powszechnymi chorobami mózgu. Odpowiedział, że choroby zwyrodnieniowe mózgu, takie jak choroba Huntingtona i Alzheimera, ‘są przewlekłe, powolne i naprawdę trudne’, co sprawia, że ich badanie jest kosztowne i są trudne do wyleczenia. Ponadto, większość takich chorób uderza w sposób losowy: “Tak naprawdę nie wiemy, kim są pacjenci, których będziemy leczyć”, więc opracowywanie leków zapobiegających tym chorobom jest jeszcze trudniejsze. Po długim czasie prób, praca z chorobami zwyrodnieniowymi mózgu okazała się dla firm farmaceutycznych bardzo frustrująca, miliony osób dotkniętych chorobą i bardzo niewielka ilość sukcesów.

Choroba Huntingtona jest inna, mówi Bilbe. Bo wiemy dokładnie, jaka mutacja genetyczna powoduje chorobę Huntingtona, “wierzymy, że możemy pokonać wszelkie przeciwności losu. Wiemy kim są pacjenci, co sprawia, że cały proces odkrywania nowych leków, metody ich testowania i grupy docelowe pacjentów u których powinny działać - stają się bardziej przewidywalne.”

Poznanie problemów genetycznych odpowiedzialnych za chorobę Huntingtona nie zatrzymuje Novartis. “Aby zrozumieć chorobę, trzeba zrozumieć jej mechanizm biologiczny” mówi Bilbe, którego filozofia opracowywania leków jest prosta. “Nasza strategia zbliżenia się do choroby to Gen, Ścieżka, Pacjent. "Wiedza, jaki problem genetyczny powoduje chorobę Huntingtona jest ogromną przewagą, mówi. "Mamy gen - staramy się dowiedzieć dokładnie co robi, chcemy znać jego ścieżkę, mechanizm jego działania, to jak niszczy komórki, a następnie organizm.” Stąd, naukowcy mogą zidentyfikować najbardziej obiecujące “cele” - poszczególne kroki w ścieżce (z genu do chorego), które leki będą w stanie zmienić.

## Novartis - programy HD

> Mamy trzy propozycje, mam nadzieję, że jedna z nich w tym roku trafi do badań klinicznych

Przechodząc do szczegółów, zapytaliśmy Bilbe, które z celów Novartis uważa za najbardziej obiecujące. “Wierzymy, że choroba jest wynikiem nagromadzenia zmutowanego białka”, odpowiedział, “a więc najprostszym sposobem na pojawienie się leku, jest usunięcie tego białka.” Głównym celem zespołu Bilbe jest opracowanie leków, które zwiększają naturalną zdolność komórek do pozbywania się szkodliwych białek.

Gdzie jest Novartis po pięciu latach? “Przetestowaliśmy już nasz lek na pląsawicę w chorobie Huntingtona, ‘AFQ056’. Mamy trzy propozycje leków spowalniających chorobę”, mówi, “mam nadzieję, że jedną z nich w tym roku wprowadzimy do badań klinicznych. Tak więc, jestem bardzo zadowolony, że w ciągu pięciu lat będziemy mieli coś, co poddamy badaniom u pacjentów”.

Pięć lat może wydawać się długim czasem, ale według doświadczenia Bilbe w rozwoju nowych leków, to dość szybko. Jak mówi, aby mieć skuteczne leczenie, “zwykle trzeba być w biznesie dziesięć lat lub nawet dłużej. To zajmuje dużo czasu. Potrzeba wytrwałości i długoterminowej wizji. To jest dopiero początek, ale mamy nadzieję.”

Opracowywanie nowych leków nie jest tanie, a jedną z głównych rzeczy, którą firmy farmaceutyczne mogą wnieść do społeczności chorych, jest ogromny majątek, potrzebny aby leczenie stało się faktem. “Aby zrobić lek, wydajesz miliardy dolarów na różne możliwości zanim znajdziesz jedną, która rzeczywiście trafi do apteki”.

## Dlaczego opracowywanie leków jest tak trudne?

Proces jest tak drogi, z powodu, który Bible nazywa ‘wyczerpywaniem możliwości’. Oznacza to, że większość pomysłów, które wydają się obiecujące w momencie ich pierwszego zbadania, nie prowadzi do powstania działającego leku. “Można rozpocząć z dziesięcioma tysiącami pomysłów i prawdopodobnie sto z tych pomysłów będzie działać. W tym czasie można rozpocząć badania na ludziach. Te sto pomysłów powinno przekładać się na sto leków, ale nie - ich liczba może spaść do dwóch lub trzech leków, z których jeden może trafić na rynek. Każdy sukces płaci za wszystkie porażki”.

Dlaczego tak wiele dobrych pomysłów nie doprowadza do powstania terapii lekowych? Wiele rzeczy może pójść źle, mówi Bilbe, gdyż choroby takie jak choroba Huntingtona są tak skomplikowane. Czasami obiecujący cel, przy bliższym badaniu okazuje się nie być tak ważny, jak początkowo przypuszczano. Czasami leki działają w laboratorium, ale mają nieoczekiwanie słabe wyniki podczas prób na ludziach czy zwierzętach, albo nie działają w ogóle lub powodują skutki uboczne. “Liczba ‘możliwości do wyczerpania’ zmienia się, ponieważ stajemy się lepsi w tym co robimy” z powodu nowych rozwiązań, jak model Bilbe`a “Gen, Ścieżka, Pacjent”.

Siedziba Novartis w Bazylei, Szwajcaria
Foto: Novartis

## Novartis i społeczność HD

Biorąc pod uwagę wszystkie inwestycje, można by sądzić, że Novartis działa w izolacji, ale rzeczywistość jest zupełnie inna. Zespół Bilbe jest ukłonem w stronę ogromnego postępu, jakiego dokonało globalne środowisko naukowe HD. Współpraca z ekspertami jest najważniejsza w podejściu Novartis do HD. “Staramy się współpracować z grupami badawczymi na świecie”, mówi. Partnerstwa, jak te pomiędzy naukowcami akademickimi i przemysłowymi, mają zasadnicze znaczenie dla większości nowych leków.

Współpraca działa w obie strony, Novartis już obiecał podzielić się z całą wspólnotą HD jednym ze swoich najważniejszych sukcesów - testem laboratoryjnym, który umożliwia mierzenie poziomu zmutowanego białka, huntingtyny. Bilbe nie przesadza, kiedy nazywa test “przełomem w tej branży”, ponieważ wiedza, ile szkodliwych białek pozostaje w organizmie, jest niezbędna do mierzenia sukcesu terapii, mających na celu usuwanie szkodliwego białka.

Mając na uwadze światową społeczność HD, chcąc wykorzystać doświadczenie Bilbe`a w opracowywaniu leków, zapytaliśmy co według niego, mogą zrobić pacjenci HD i ich rodziny aby przybliżyć powstanie leku. “Musimy podnieść świadomość, że mamy bardzo realne szanse na znalezienie lekarstwa na tę chorobę”, odparł. “Społeczność HD musi być przygotowana na to, że niektóre z leków będą niezadowalające, niektóre z nich będą ‘niewiadomymi’, a jeden lub dwa mogą okazać się czymś dobrym. Musimy być realistami. Bez rozczarowań nie będziemy się uczyć.”

## Przyszłość

Mimo pragmatycznego realizmu, Bilbe pozostaje optymistą jeśli chodzi o szanse naukowców na znalezienie skutecznych terapii poprawiających jakość życia osób dotkniętych HD. “Musimy wspiąć się na ogromne góry”, przyznaje, “a po drodze spotka nas prawdopodobnie wiele rozczarowań. Aby być optymistą najpierw trzeba być realistą, a następnie musisz mieć opcje. Kiedy jesteś już realistą i masz możliwości, możesz zacząć mieć nadzieję na sukces.”

---

*Autorzy nie zgłosili konfliktu interesów. Aby uzyskać więcej informacji na temat naszej polityki informacyjnej zobacz FAQ...*

---

© HDBuzz 2011-2015. Treści HDBuzz można rozpowszechniać na warunkach Ogólna Licencja Creative Commons: Uznanie autorstwa - Na tych samych warunkach, 3.0 .
HDBuzz nie jest źródłem porad medycznych. Aby dowiedzieć się więcej zobacz hdbuzz.net
Wygenerowano październik 03, 2015 — Pobrany z http://pl.hdbuzz.net/022