HDBuzz

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

2CARE: badanie koenzymu Q w chorobie Huntingtona kończy się rozczarowaniem

Największa w historii próba lekowa w HD, badanie koenzymu Q10, zatrzymana z powodu 'płonności'. Co to znaczy?

Napisany przez Dr Jeff Carroll sierpień 18, 2014
Zredagowany przez Dr Ed Wild; Przetłumaczony przez Arkadiusz Szatkowski
Po raz pierwszy opublikowany sierpień 13, 2014

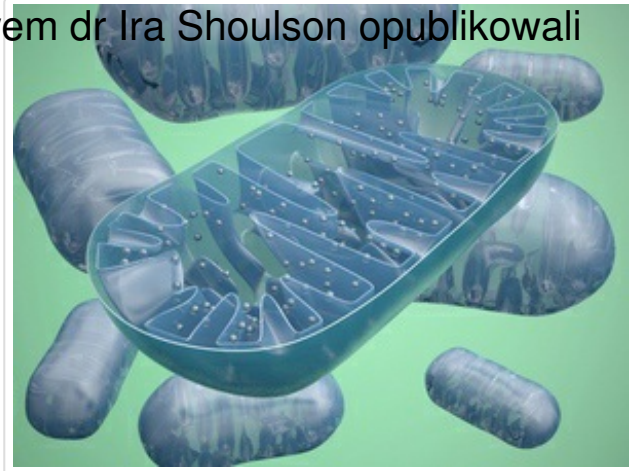
Największa dotąd próba terapeutyczna w chorobie Huntingtona została wstrzymana na początku tego tygodnia, analiza dotychczasowych wyników wykazała, że uzyskanie pozytywnych rezultatów jest bardzo mało prawdopodobne. Badanie zwane 2CARE uruchomiono celem zbadania czy leczenie zwane koenzym Q10 spowolni postęp HD.

Wczesne próby koenzymu Q10 w HD

Koenzym Q10, albo **CoQ10**, to naturalnie występująca substancja, znajduje się we wszystkich komórkach naszego ciała. Dla komórek stanowi ważny element procesu, który zamienia pożywienie w energię chemiczną. CoQ10 wpływa na transfer cząstek o wysokiej energii w procesie wytwarzania energii.

Kiedy naukowcy przyglądają się mózgom osób z chorobą Huntingtona, obserwują zmniejszony poziom energii, jakby elektrownie nie pracujące na pełnych obrotach. Sugerowało to, że wzmocnienie produkcji energii może być użytecznym sposobem leczenia HD. Prace z połowy lat 90 ub. w. dostarczyły dowodów, że podawanie pacjentom HD tabletek CoQ10 pomogło zwiększyć moc komórkowych elektrowni.

W roku 1996, lekarze pod przewodnictwem dr Ira Shoulson opublikowali małe studium CoQ10 u pacjentów HD. Zauważyli, że lek był dobrze tolerowany, jak również to, że nie ma żadnych korzystnych efektów w badanych dawkach i okresie - 600 lub 1200 mg na dobę przez okres sześciu miesięcy.



Prawie każda komórka naszego ciała pełna jest energetycznych roślin, zwanych ‘mitochondriami’. Koenzym Q10 pomaga mitochondriom wytwarzać energię.

Wyniki większej próby koenzymu Q10 w HD ogłosiła w 2001 roku Huntington Study Group. Badanie, zwane badaniem CARE, obejmowało większą liczbę pacjentów (347) w dłuższym okresie czasu (prawie 3 lata). Kolejny raz naukowcy ustalili, że związek był dobrze tolerowany, ale nie ma mocnych korzyści w zakresie objawów HD.

W tym okresie, badacze zaczęli zgłaszać, że duże dawki koenzymu Q10 poprawiają stan myszy w niektórych modelach HD. Powstało pytanie: dlaczego związek pomaga myszom HD a nie pomaga pacjentom HD?

To nie wystarczy?

Istnieje kilka możliwych wyjaśnień, dlaczego wyniki CoQ10 u myszy nie przełożyły się na wyniki u ludzi. Najprostszym jest to, że CoQ10 po prostu nie działa. Innym możliwym wyjaśnieniem jest to, że może wpływać korzystnie na HD ale badano zbyt niskie dawki.

Opublikowane w 2002 roku duże badanie choroby Parkinsona sugerowało, że bardzo duże dawki CoQ10 (minimum 1 200 mg dziennie)

> Teraz wydaje się oczywiste, że koenzym Q10 nie działa na HD.

były tolerowane przez pacjentów z tą chorobą. Być może pacjenci HD przyjmujący CoQ10 po prostu dostawali zbyt małe dawki tego związku?

Naukowcy zabrali to pytanie z powrotem do laboratorium i badali na myszach HD coraz wyższe dawki koenzymu Q10. Myszy, które otrzymały największe dawki CoQ10 zdawały się radzić sobie najlepiej. W małym badaniu na ludziach, opublikowanym w 2010 roku, naukowcy zaobserwowali, że pacjenci HD bez istotnych negatywnych skutków mogli przyjmować do 3600 mg CoQ10 dziennie.

Obecnie wiadomo, że pacjenci z HD mogą przyjmować bardzo duże dawki koenzymu Q10; wiadomo również to, że najwyższe dawki - przynajmniej u myszy - są tymi najkorzystniejszymi. Zmotywowani tymi informacjami, naukowcy z Huntington Study Group zaprojektowali **największe badanie pacjentów z HD** - **zwane 2CARE**, w którym zamierzano przebadać 609 wolontariuszy. W badaniu miała być stosowana bardzo duża dawka koenzymu Q10 (2400 mg dziennie) podawana aż przez **5 lat**.

Badanie 2CARE rozpoczęło się w 2008 roku, miało się zakończyć pod koniec 2017.

2CARE zatrzymane

Huntington Study Group w tym tygodniu opublikował na swojej stronie internetowej oświadczenie o tym, że badanie 2CARE zostało **“zatrzymane z powodu płonności”**. Co to oznacza w kontekście badania leków?

Wszelkie próby leków pochłaniają znaczne zasoby. Badania kliniczne kosztują dużo ze względu na zaangażowany personel i zasoby. Co może ważniejsze, rodziny HD poświęcają swój czas i pracę,

W niektórych badaniach, CoQ10

pokładają nadzieję w proces, który może być czasochłonny i stresujący.

> wydaje się pomagać myszom HD, ale nie działa u pacjentów HD.

Agencje, które prowadzą wielkie próby typu 2CARE, opracowały sposoby monitorowania postępów badania. Prowadzone są regularne ‘analizy pośrednie’ w czasie całego badania - trochę jak pitstop dla samochodów wyścigowych. Są ważne z kilku powodów. Na szczycie wszystkich list jest **bezpieczeństwo**. Jeśli pacjenci przyjmujący lek mają jakieś powikłania, natychmiast musimy o tym wiedzieć, żebyśmy mogli zatrzymać badanie.

W odniesieniu do bezpieczeństwa, w informacji Huntington Study Group wskazano, że w badaniu 2CARE wśród pacjentów HD biorących CoQ10 było nieco więcej zgonów (7% w grupie CoQ10) w porównaniu do pacjentów przyjmujących nieaktywne tabletki **placebo** (4% w grupie placebo). Zwrócono uwagę, że różnice między grupami (7% vs 4%) mogły wystąpić przez przypadek i mogły nie mieć związku z leczeniem.

Inny aspekt badania, który może być monitorowany nazywany jest **‘płonnością’**. Płonność oznacza nierozstrzygalność, w kontekście badania klinicznego płonność oznacza, że analizy pośrednie pokazują, że **pozytywne wyniki są tak mało prawdopodobne, że nie ma sensu prowadzić badania do końca**.

W przypadku badania 2CARE, wczesny przegląd sugerował mniej niż 5% szans na to, że badanie zakończy się wynikiem pozytywnym. Tak mała szansa na sukces, połączona z obawą, że wysokie dawki koenzymu Q10 mogą nie być bezpieczne, doprowadziła do wcześniejszego przerwania badania.

Analiza przyczyn

W takich momentach należy zadać sobie pytanie, jaką lekcję możemy wyciągnąć z niepowodzenia koenzymu

> Rodziny HD muszą pamiętać, że

Q10 w HD?

Po pierwsze, wielu pacjentów HD i członków rodzin od lat przyjmowało CoQ10, z powodu wcześniejszych sugestii, że może on być korzystny. Teraz wydaje się oczywiste, że **koenzym Q10 nie działa na HD**.

pojedynczo te niepowodzenia mogą być rozczarowujące, ale tylko w ten sposób możemy znaleźć leczenie, które zadziała. ”

Po drugie środki, które miały być wykorzystane na badanie 2CARE możemy teraz przekierować do innych badań, z większą szansą powodzenia. Rekrutacja ponad 600 pacjentów na okres 5 lat było ogromnym osiągnięciem społeczności HD, mamy nadzieję, że podobne zaangażowanie będzie powtarzane w kolejnych badaniach z lepszą szansą na sukces.

Bardzo prawdopodobnym jest, że za rok lub dwa zobaczymy start kilku badań ukierunkowanych na konkretne mechanizmy leżące u podstaw HD, a nie na ‘ogólnie korzystne’ związki, jakim miał być CoQ10. Pacjenci zwolnieni z udziału w badaniu 2CARE mogą być tymi, którzy pomogą zorganizować i przeprowadzić nowe badania tak szybko, jak to możliwe.

Na koniec, warto zastanowić się (jako społeczność), jakie leki testujemy na chorych z HD. Patrząc wstecz, dowody wykorzystane do podjęcia decyzji o testowaniu CoQ10 u ludzi były dość ograniczone. Ostatnie próby powtórzenia obserwacji, że CoQ10 poprawia stan myszy HD zawiodły. Wczesne wstrzymanie badania 2CARE stanowi dobrą okazję, by się zatrzymać i pomyśleć o tym, jakie dowody z laboratorium są na tyle przekonujące, by ryzykować badanie leków na pacjentach z HD.

I co teraz?

Po tak wielu wysiłkach i długim czasie mamy wynik, którego nikt nie chciał. Ale gdyby droga do lekarstwa na chorobę Huntingtona była prosta, już dawno bylibyśmy u celu. Musimy pamiętać, że pojedynczo te

niepowodzenia mogą być rozczarowujące, ale tylko w ten sposób możemy znaleźć leczenie, które zadziała. Nawet negatywny wynik badania pomaga nam lepiej zrozumieć HD oraz to, jak lepiej rozwijać i badać leki. Przegranie tej bitwy jest rozczarowaniem, ale pozostajemy optymistami jeśli chodzi o przebieg wojny przeciwko HD.

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

Słownik

placebo Placebo to substancja nie zawierająca aktywnych składników. Efekt placebo to efekt psychologiczny, powoduje, że ludzie czują się lepiej, nawet jeśli biorą pigułkę, która nie działa.

© 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 02, 2015 — Pobrany z http://pl.hdbuzz.net/171