

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

## Prana Biotech opublikowała wyniki badania PBT2 na zwierzęcym modelu choroby Huntingtona



Prana Biotechnology opublikowała dane wykazujące, że jej lek - PBT2 – działa w zwierzęcych modelach HD

Napisany przez Dr Jeff Carroll kwiecień 10, 2013

Zredagowany przez Dr Ed Wild; Przetłumaczony przez Arkadiusz Szatkowski

Po raz pierwszy opublikowany styczeń 14, 2013

---

*Huntington Study Group i Prana Biotechnology prowadzą badanie kliniczne Reach2HD, ma ono zweryfikować czy lek PBT2 jest skuteczny u pacjentów HD. Opublikowano właśnie przedkliniczne dane źródłowe pokazujące, że lek jest skuteczny w dwóch zwierzęcych modelach HD.*

### Historia PBT2

Wiele rodzin dotkniętych chorobą Huntingtona była podekscytowana pojawieniem się nowego gracza rozwijającego nowatorskie leczenie na HD. Prana Biotechnology, australijska firma farmaceutyczna, opracowała nowy lek pod nazwą **PBT2**.

W HDBuzz pisaliśmy już o Pranie i jej leku, który działa w sposób zaskakujący i nowatorski. Lek ma działać na interakcje białka huntingtyny i miedzi.

Oddziaływanie na miedź w organizmie może wydawać się dziwnym i zaskakującym sposobem atakowania choroby Huntingtona, ale badanie zmian miedzi w mózgach pacjentów z HD to nie nowość.



Inna choroba genetyczna - **choroba Wilsona** - jest spowodowana mutacjami w genie, który pozwala komórkom pozbywać się nadmiaru miedzi. Komórki pacjentów z chorobą Wilsona gromadzą zbyt wiele miedzi, ponieważ dzięki wadliwemu genowi nie wiedzą, jak się jej pozbyć.

Okazuje się, że pacjenci z chorobą Wilsona mają uszkodzone te same obszary mózgu co pacjenci z chorobą Huntingtona oraz że w HD w tych częściach mózgu również gromadzi się miedź. To potwierdza tezę, że miedź może być ważna dla części mózgu obumierających w HD.

Prana Biotechnology rozpoczęła współpracę z Huntington Study Group nad rozpoczęciem badania leku PBT2 wśród pacjentów HD. Badanie, prowadzone obecnie w USA i Australii, nazywa się **Reach2HD**.

Badanie zorganizowano tak szybko, że niewiele osób spoza firmy widziało dane sugerujące skuteczność leku. Teraz wyniki zostały udostępnione wszystkim, w nowym numerze Journal of Huntington's Disease.

## Modele zwierzęce

Przed badaniem leku u ludzi, naukowcy lubią wiedzieć, czy jest on skuteczny i bezpieczny. Jedyne sposoby aby się o tym przekonać, to podanie leku genetycznie zmodyfikowanym zwierzętom, którym dodano zmutowany gen HD, ten sam, który mają pacjenci.

Zwierzęta te mają problemy, które - pod pewnymi względami - naśladują te występujące u pacjentów z HD. Chociaż zwierzęta nie zapadają na chorobę Huntingtona, to stanowią obiektywne narzędzie oceny, czy lek ma wpływ na problemy wynikające z ekspresji zmutowanego genu HD.

Aby przetestować PBT2, zespół naukowców prowadzony przez Stephena Massa z University of California w San Francisco wybrał dwa różne zwierzęce modele HD. Jako pierwsze wykorzystano małe robaczki o koczmarnej długiej nazwie - '**Caenorhabditis elegans**'. W przeciwieństwie do ludzi, którzy mają miliardy komórek mózgowych, każdy **C. Elegans** ma ich dokładnie 302.

Zmuszanie **C. Elegans** do ekspresji genu podobnego do tego, który powoduje chorobę Huntingtona u ludzi powoduje, że robaki te stają się sparaliżowane i niezdolne do ruchu. Ponieważ myszy są tak małe i żyją bardzo krótko, mogą być wykorzystywane do szybkiego sprawdzenia, czy lek zmniejsza szkodliwy wpływ zmutowanego genu.

Drugie zwierzę użyte w badaniach skuteczności PBT2 to myszy, zostały genetycznie zmodyfikowane do ekspresji zmutowanego genu HD. Gen ten sprawia, że myszy bardzo szybko poważnie się rozchorowują - mają problemy z koordynowaniem ruchów, obserwuje się u nich kurczenie mózgu (podobne do tego u pacjentów z HD) i ostatecznie umierają bardzo młodo. Myszy te stanowią proste narzędzie do testowania leków na chorobę Huntingtona - naukowcy mogą po prostu podać myszy lek i sprawdzić czy poprawia którykolwiek z objawów.

## Wyniki

PBT2 był bardzo skuteczny u robaków - robaki leczone PBT2 żyły znacznie dłużej, bez paraliżu. Ratowanie robaków jest przyjemne ale dalekie od ratowania ludzi! Myszy, mimo że małe i mają dość proste zachowania, są znacznie bliższe ludziom. Jak działał PBT2 na myszy z HD?

U myszy HD leczonych PBT2 obserwowano poprawę koordynacji ruchowej - to znaczy, że były nieco mniej niezdarne. Co ciekawe, leczenie PBT2 znacząco wydłużyło czas życia myszy HD: myszy leczone żyły o 26% dłużej niż nieleczone. To całkiem przyzwoite wydłużenie, choć trzeba pamiętać, że w przedłużonym okresie życia myszy wciąż były chore.

Również inne wskaźniki uległy poprawie. Podobnie jak wielu pacjentów z HD, myszy z HD tracą wagę. Utrata wagi może być poważnym problemem dla pacjentów HD, i trudno z nią walczyć. Leczenie PBT2 pomogło myszom z HD utrzymać wagę.

Kurczenie się mózgu myszy HD było znaczące, ale nie całkowite. To sugeruje, że lek nie maskuje objawów, ale w rzeczywistości może zapobiegać obumieraniu komórek mózgu, które powoduje pojawianie się objawów.

## Zastrzeżenia i pytania

Nietrudno zrozumieć, dlaczego naukowcy byli podekscytowani wynikami PBT2. Korzystne efekty u myszy są imponujące.

Zawsze przy badaniach prowadzonych na zwierzętach warto pomyśleć o ograniczeniach. Myszy leczono PBT2 począwszy od 3 tygodnia życia. Tak nie będzie u ludzi, u ludzi podawanie leku rozpocznie się po wystąpieniu objawów. Czy PBT2 będzie działał, jeśli zaczniemy go podawać już chorej osobie? Jeszcze zwyczajnie nie wiemy.

PBT2 ma przewagę nad innymi doświadczalnymi lekami na HD. Z jednej strony, dociera do mózgu, w którym musi być, aby działać. Ponadto wykazano już, że jest dobrze tolerowany przez pacjentów z chorobą Alzheimera, przez co prawdopodobieństwo wystąpienia niepożądanych efektów ubocznych maleje.

Obecne badania kliniczne PBT2 u pacjentów z HD formalnie mają na celu wyłącznie sprawdzenie, czy lek jest bezpieczny dla pacjentów z HD podczas 26 tygodniowej kuracji. Ale badacze dokonują również pomiaru szeregu zmian, m.in.: zmian zachowania, problemów z myśleniem oraz biologicznych zmian we krwi, moczu i mózgu pacjentów. Wszystko to może nam podpowiedzieć, czy PBT2 jest skuteczne.

Rekrutacja do badania została zakończona (zgromadzono odpowiednią liczbę ochotników), czekamy na wyniki.

---

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

---

### Słownik

**badania kliniczne** dokładnie zaplanowane eksperymenty mające na celu ustalenie jak lek działa na ludzi

---

© HDBuzz 2011-2018. Treści HDBuzz można rozpowszechniać na warunkach Ogólnej Licencji Creative Commons: Uznanie autorstwa - Na tych samych warunkach, 3.0 .

HDBuzz nie jest źródłem porad medycznych. Aby dowiedzieć się więcej zobacz [hdbuzz.net](https://hdbuzz.net)

Wygenerowano styczeń 18, 2018 — Pobrane z <https://pl.hdbuzz.net/112>