

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

Uniwersytet w Nowym Orleanie NIE odkrył lekarstwa na chorobę Huntingtona



Podstawy niecodziennej informacji prasowej dotyczącej odkrycia 'sposobu na opóźnienie objawów HD'

Napisany przez Dr Ed Wild czerwiec 02, 2013

Zredagowany przez Dr Jeff Carroll; Przetłumaczony przez Arkadiusz Szatkowski

Po raz pierwszy opublikowany styczeń 28, 2013

Ostatnia informacja prasowa Uniwersytetu w Nowym Orleanie (UNO) głosi, że tamtejsi naukowcy odkryli "sposób na opóźnienie objawów śmiertelnej choroby Huntingtona". Miód na serca członków rodzin HD. Ale czy podstawa naukowa uzasadnia rozgłos? Krótka odpowiedź, niestety, brzmi nie.

Podstawa naukowa

Podstawa naukowa notatki prasowej koncentruje się na białku **Rhes**. Dwie ostatnie litery nazwy oznaczają 'wzbogacony w prążkowie' (oryg.: 'Enriched in the Striatum'), ponieważ część mózgu, w której w większości znajduje się Rhes nazywa się **prążkowie**.

Tak się składa, że na wczesnym etapie choroby Huntingtona neurony obumierają właśnie w prążkowie. Z tego powodu, a także dlatego, że uczestniczy w informowaniu komórek, których białek mają się pozbyć, Rhes wzbudziło zainteresowanie badaczy usiłujących zrozumieć HD i opracować leczenie.

Niektóre wcześniejsze badania sugerowały, że białko Rhes może być 'wspólnikiem' zmutowanej huntingtyny w uszkodzeniu neuronom. Obraz nie jest jednak klarowny ponieważ inni odkryli, że może mieć pewne działanie ochronne. Rhes nadal pozostaje częścią układanki.

Naukowcy z UNO, pod kierownictwem dr Geralda LaHoste, przy pomocy inżynierii genetycznej i krzyżowania stworzyli specjalne myszy. Chcieli zobaczyć, czy stan myszy wytwarzających zmutowaną huntingtynę poprawi się czy pogorszy, jeśli myszy te będą **jednocześnie** wytwarzały Rhes w ilościach poniżej normy.

'Myszy HD' z niedoborem Rhes skutecznie hodowano i obserwowano w szeregu testów przez sześć miesięcy. Myszy pozbawione Rhes wciąż chorowały i rozwijały problemy ruchowe, ale pogorszenie postępowało wolniej niż u 'myszy HD', które produkowały normalną ilość Rhes.



Różnica stanowiła około dwóch miesięcy opóźnienia.

Poprawa objawów ruchowych myszy jest zachęcająca, ale to nie wszystko. Mózgi 'myszy HD' kurczą się, tak samo jak mózgi pacjentów HD. Okazuje się, że wywołanie u myszy niedoborów Rhes - samo w sobie - **również** powoduje kurczenie mózgu. Oczywiście, wśród skutków ubocznych leczenia na HD nie szuka się kurczenia mózgu.

Może to być zachęcający początek długiej drogi, ale ilość pracy potrzebnej do przejścia od eksperymentu (genetycznej manipulacji) do leku pomagającego pacjentom jest ogromna, i zajmie wiele lat, z możliwością niepowodzenia na każdym etapie, zwłaszcza przy podczas przejścia z myszy na ludzi.

Wyniki u zwierząt nie często przekładają się na wyniki u chorych, istnieje ku temu wiele powodów. Tu warto zauważyć, że myszy w tym badaniu wytwarzały jedynie niewielki fragment białka huntingtyny, co czyni z nich mniej dokładny model ludzkiego HD; jakiegokolwiek inne myszy, których można było użyć, byłyby dokładniejszym modelem HD u ludzi. I zgłoszone 16% opóźnienie objawów, choć lepsze niż nic, na pewno nie jest największą poprawą zaobserwowaną po manipulacji genetycznej.

Informacja prasowa

Notatki prasowe są mieczem obosiecznym. Są dobrym sposobem na poinformowanie świata o odkryciach naukowych. Ale zbyt często są pisane w sposób, który przyciąga uwagę, ale jednocześnie przechwala publikowane wyniki badań naukowych.

Ujmując rzecz uprzejmie, mamy poważne zastrzeżenia do informacji prasowej, którą UNO wybrał na ogłoszenie wyników prac. Zawiera ona szereg twierdzeń, które mogą budzić nadzieje ludzi na postęp, który może nigdy nie zostać osiągnięty.

Z wielu powodów, i żeby było jasne, nie twierdzimy, że ktoś celowo wprowadza kogoś w błąd. Ale 'przechwalanie' (w kontekście wyolbrzymiania zalet, przyp. tłum.) to coś, przed czym naukowcy i Uniwersytety muszą się bronić.

“Opóźnianie objawów HD”

Zaczynając od góry, nagłówek mówi, że naukowcy odkryli “sposób na opóźnienie objawów śmiertelnej choroby Huntingtona”.

Jak już teraz wiemy, w rzeczywistości odkryli, że sztuczna manipulacja genetyczna sprawia, że myszy stają się mniej podatne na skutki mutacji HD, ale również kurczą się ich mózgi. Chociaż prawdą jest, że objawy były opóźnione, to **myszy nie chorują na chorobę Huntingtona**. Wszyscy naukowcy o tym wiedzą, więc osoba publikująca notatkę dotyczącą HD powinna unikać nagłówek, które mogą sugerować zapowiedź 'lekarstwa', o którym wszyscy chcielibyśmy przeczytać.

” Ta informacja prasowa jest uderzającym przykładem tego, jak bezmyślne pisanie może nadmiernie nadmuchać oczekiwania

”

Czy kreatywne redagowanie nagłówków ma jakieś znaczenie? **Tak**, oto dlaczego.

Aby uzyskać nowe leki dla pacjentów HD, potrzeba badań klinicznych, które zazwyczaj wymagają setek pacjentów-ochotników, pozyskanych spośród zapracowanych ludzi starających się prowadzić normalne życie. Choroba Huntingtona jest dość rzadka, a tylko około 20% osób zagrożonych HD wykonała badania genetyczne. Zatem pula wolontariuszy pomagających w opracowywaniu leków jest dość mała a bazujemy przecież na dobrej woli ludzi i wierze w środowisko naukowe.

Kiedy ktoś czyta nagłówek głoszący dobre wieści dla rodzin HD, jest rozczarowany, kiedy świat nauki nie dostarcza tego, co obiecał nagłówek, istnieje ryzyko, że stracimy ochotnika - odsuwając w czasie nadejście skutecznych terapii. To absolutna tragedia, której można łatwo zapobiec, prowadząc odpowiedzialne zaangażowanie publiczne.

“Pierwsza terapia”?

Następnie, główny autor publikacji - dr LaHoste - mówi: “Wierzę, że te wyniki są ważne, ponieważ mogą doprowadzić do opracowania pierwszej terapii na tę straszną chorobę.” Ale Rhes jest nowością na liście celów terapeutycznych opracowywanych leków, a pokonanie przepaści pomiędzy genetycznym modyfikowaniem celu, z którym mamy w tym przypadku do czynienia, a pigułką dla pacjentów, trwa wiele lat.

Więc oświadczenie LaHoste może bardzo przeszacowywać potencjał uzyskanych wyników. Jednocześnie, **bagatelizuje** postępy w opracowywaniu leków poczynione przez światową społeczność HD.

W istocie, eksperymentalne metody leczenia, takie jak wyciszanie genu huntingtyny, są bardzo zaawansowane, badania kliniczne wśród pacjentów z chorobą Huntingtona powinny rozpocząć się przyszłym roku.

Tak więc, choć może się zdarzyć, że leki ukierunkowane na Rhes mogą być pierwszą kuracją spowalniającą HD, istnieje wiele innych metod, które są bliżej sukcesu.

Dlaczego mowa o statynach?

Jedno zdanie z informacji prasowej jest szczególnie zaskakujące. Brzmi ono tak: “Na podstawie wyników uważają, że klasa leków obniżających poziom cholesterolu, zwanych statynami, może znacznie spowolnić objawy choroby Huntingtona u ludzi.” Dziwne jest to, że ani cholesterol ani statyny nie są wymienione w pracy badawczej. Co więcej, wiemy, że nie ma związku między Rhes i statynami.

Powyższe stwierdzenie wydaje się nie być uzasadnione pracami naukowymi i ma potencjał powodowania zamieszania wśród pacjentów i członków rodzin. Żeby było jasne, **nie ma** dowodów, że przyjmowanie statyn jest pomocne w HD, z badań prowadzonych na zwierzętach, ludziach czy czymkolwiek innym.

Myszy to nie ludzie!

Trochę niżej, notatka prasowa wpada w częstą pułapkę. Relacjonując opóźnienie pojawienia się objawów u genetycznie zmienionych myszy, czytamy: “W odniesieniu do długości życia tych myszy, opóźnienie przekłada się na około pięć lat u ludzi.”

W naszej opinii ta sugestia jest bardzo nierozsądna. Nawet raport z badań LaHoste ostrzega, że “trudno porównywać długości życia poszczególnych gatunków”, a ktoś, kto śledzi badania HD wie, że spośród wielu leków, które działały korzystnie w mysich modelach HD, jeszcze żaden nie przyniósł korzyści pacjentom.

Przewidywanie korzyści u ludzi na podstawie badań na myszach - zwłaszcza w tak szczególnych warunkach, niesie ze sobą ryzyko budowania fałszywych nadziei, a następnie rzeczywistego rozczarowania.

Czego możemy się z tego nauczyć?

W sumie, mamy tutaj dość proste badanie, którego wynikiem są skromne korzyści uzyskane dzięki manipulacji genetycznej w mysim modelu HD, połączone z potencjalnie niepokojącym efektem ubocznym. Badanie zapewnia jakieś wsparcie dalszym badaniom Rhes w chorobie Huntingtona, ale nie przekłada się na pacjentów. Prace z Rhes trwają w wielu laboratoriach i jeśli nastąpi przełom, poinformujemy o tym.

Ale informacja prasowa towarzysząca publikacji wyników badania jest uderzającym przykładem tego, jak - nawet jeśli nikt świadomie nie chciał nikogo krzywdzić - oczekiwania mogą być nadmiernie napompowywane przez przereklamowanie, co może szkodzić naszym wysiłkom: posuwania badań naprzód poprzez zaangażowanie członków rodzin HD.

Przede wszystkim zachęcamy naukowców i osoby ze świata mediów do ostrożnego i odpowiedzialnego przygotowywania informacji prasowych. Biuro Komunikacji UNO nie odpowiedziało na prośbę o komentarz w tej sprawie.

Aby pomóc sobie oddzielić nadzieję od szumu podczas czytania informacji prasowych w przyszłości, przeczytaj artykuł “Dziesięć złotych reguł czytania newsów naukowych”.



Artykuł “Dziesięć złotych reguł czytania newsów naukowych” ma na celu uchronić Cię przed rozczarowaniem przereklamowanymi nagłówkami prasowymi.

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

neurony komórki mózgu, które przechowują i przekazują informacje

© HDBuzz 2011-2017. 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
Wygenerowano maj 01, 2017 — Pobrano z <https://pl.hdbuzz.net/114>