

## Poszukiwania poza rdzeniem: Wyniki badania klinicznego cysteaminy



Wyniki badań klinicznych 2/3 fazy cysteaminy w chorobie Huntingtona okazały się niejednoznaczne

Napisany przez Melissa Christianson luty 15, 2016

Zredagowany przez Dr Jeff Carroll; Przetłumaczony przez Arkadiusz Szatkowski

Po raz pierwszy opublikowany grudzień 18, 2015

*Na początku grudnia, Raptor Pharmaceuticals opublikowała wyniki badań klinicznych oceniających w chorobie Huntingtona lek o nazwie cysteamina. Doniesienia prasowe wywołały w mediach niemałe zawirowania, HDBuzz sprawdza co naprawdę oznaczają wyniki dla społeczności choroby Huntingtona.*

### Badania kliniczne i granaty?

Badania kliniczne i granaty mają coś wspólnego, choć może nie tak od razu to widać. Tak jak dostanie się do smacznych nasion w sercu owocu granatu wymaga starannego usunięcia skóry i błon owocu, dostanie się do esencji wyników badań klinicznych wymaga starannego rozpakowywania ich z newsowych nagłówków.

Obydwie czynności mogą być trudne i brudzące, ale nie martw się! HDBuzz przychodzi z pomocą, pomaga przebrnąć przez marketingowe nagłówki prasowe, znaleźć fakty i zrozumieć, co wyniki badań klinicznych oznaczają dla społeczności choroby Huntingtona (HD).

Napisaliśmy już kilka przewodników wyjaśniających czym są badania kliniczne i jak należy interpretować doniesienia o nich. Sięgając po jakiegokolwiek doniesienia o badaniu, zawsze powinniśmy mieć na uwadze przede wszystkim to dlaczego badanie zostało uruchomione: **żeby sprawdzić, czy lek łagodzi HD.**

W tym artykule, stanowiącym przegląd wyników zakończonego niedawno badania klinicznego w HD, będziemy trzymać się tej właśnie perspektywy.

### Trochę tła



Tak jak dostanie się do smacznych nasion w sercu owocu granatu wymaga starannego usunięcia skóry i błon owocu, dostanie się do esencji wyników badań klinicznych wymaga starannego rozpakowywania ich z newsowych nagłówków.

Foto: Freemages

Wyniki pochodzą z fazy 2/3 badania klinicznego HD prowadzonego przez Raptor Pharmaceuticals. W badaniu testowano cysteaminę - lek, który pokonał już pewne etapy procesu zatwierdzania leków, badano skuteczność opóźniania objawów w HD. HDBuzz śledził ten proces od samego początku, opisywaliśmy go w poprzednim tekście.

Z badań laboratoryjnych wiemy, że cysteamina - znana również jako RP103 - robi wiele dobrych rzeczy dla mózgu. Potrafi powstrzymać lepkie białka przed sklejeniem się w mózgu, pobudza naprawę komórek mózgu, podnosi poziom substancji chemicznej, która utrzymuje komórki mózgu w zdrowiu i usuwa nadmiar toksycznych dla mózgu metali. Teoretycznie, każde z tych działań osobno (albo wszystkie razem) może wpłynąć na opóźnienie objawów HD u ludzi.

Ze względu na czas trwania, Raptor podzielił badanie kliniczne na dwie partie. W pierwszej, uczestnicy przyjmowali cysteaminę albo placebo dwa razy dziennie, grupy wyłoniono drogą losowania. W drugiej, wszyscy przyjmujący wcześniej placebo, również otrzymywali cysteaminę (osoby przyjmujące wcześniej cysteaminę nadal ją przyjmowały, bez zmian). Taka struktura dawała pewność, że wszyscy uczestnicy odczują korzystny wpływ tego leku, o ile taki w ogóle istniał.

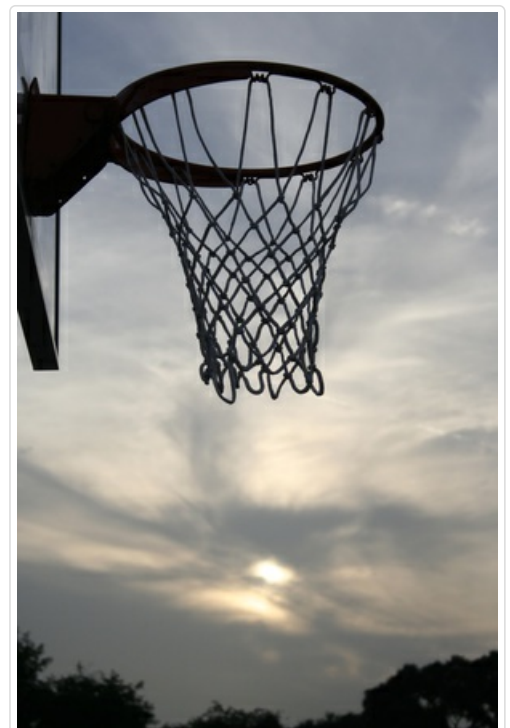
Podobnie jak wiele badań klinicznych w HD, próba Raptor stawiała kilka pytań o to czy i jak lek wpływa na objawy choroby Huntingtona. Najważniejsze z tych pytań (określamy je jako **pierwszorzędowy punkt końcowy** badania, który pozwala jednoznacznie określić rezultat) dotyczyło objawów ruchowych. Konkretnie, pierwszorzędowy punkt końcowy stanowiło pytanie czy przyjmowanie cysteaminy spowolni postępowanie objawów ruchowych, które zwykle występują w chorobie Huntingtona. W badaniu oceniano również czy cysteamina wpływa na inne rzeczy, takie jak ogólne funkcjonowanie, niezależność i bezpieczeństwo.

## Ostateczne wyniki nie sięgają celu

Próba CYST-HD została zakończona, dostępne są jej ostateczne wyniki. Na początku grudnia Raptor wydała oświadczenie zapowiadające te wyniki.

Dla każdego badania klinicznego najważniejsze są wyniki związane z pierwszorzędowym punktem końcowym badania. Pamiętaj, ten punkt końcowy określa, czy my - i agencje rządowe, które są ostatecznie odpowiedzialne za dopuszczenie leku do stosowania - uznamy badanie za sukces czy porażkę.

Niestety, próba CYST-HD nie spełniła pierwszorzędowego punktu końcowego. Nawet jeśli objawy ruchowe u osób biorących cysteaminę postępowały wolniej niż u osób przyjmujących placebo, efekt ten nie był duży i wystarczająco konsekwentny by uznać go za *statystycznie istotny* (więcej o tym później).



Niestety, próba CYST-HD nie

Ponadto, chociaż efekty leku dotyczące objawów ruchowych stawały się nieco wyraźniejsze, gdy Raptor spojrzała wyłącznie na konkretną grupę uczestników badania, to nadal nie były one statystycznie istotne.

spełniła pierwszorzędownego punktu końcowego.  
Foto: Freemages

Mimo to, w połączeniu z pewnymi testami próby, te kuszące trendy wskazują, że cysteamina może nieznacznie wpływać na HD w sposób nie ujęty w analizach.

## Czy statystyczna istotność jest naprawdę ważna?

Aby zrozumieć, co taki zbiór wyników oznacza dla społeczności HD, należy pamiętać o naszej perspektywie z początku tego tekstu: **badania kliniczne prowadzone są aby sprawdzić, czy lek łagodzi HD.**

My wszyscy - naukowcy, firmy farmaceutyczne, a zwłaszcza społeczność pacjentów - naprawdę chcemy znaleźć leki, które zmieniają przebieg HD. Jednak to pragnienie może czasem sprowadzić na nas ryzyko doszukiwania się tendencji, tam gdzie ich nie ma, albo - co bardziej niebezpiecznie - wiary w lek, który w rzeczywistości nie działa.

Statystyki redukują powyższe zagrożenia, informują nas, czy wyniki badania klinicznego są wiarygodne czy też mogą być zwyczajnym szczęśliwym trafem.

Kiedy mówimy, że wyniki dla pierwszorzędownego punktu końcowego w badaniu Raptor nie były 'statystycznie znaczące', to sprawa jest poważna. Oznacza, że skutki leku podawanego w badaniu mogą być wyłącznie dziełem przypadku. Matematycznie rzecz ujmując, cysteamina nie zmieniła objawów Huntingtona inaczej niż placebo. Dlatego też, nawet po trwającej 3 lata próbie, **jeszcze nie ma dowodów na to, że cysteamina łagodzi HD.**

## Dokąd zmierzamy?

Mimo, że próba Raptor nie spełniła pierwszorzędownego punktu końcowego, wciąż możemy wykorzystać dwie ciekawe i potencjalnie ważne informacje.

Po pierwsze, próba dostarczyła przesłanek, że cysteamina może nieznacznie opóźnić niektóre objawy HD u niektórych osób. Dlatego też, wykorzystanie tego potencjału teoretycznie wciąż jest możliwe, być może obserwując nieco inną populację pacjentów lub zadając inne pytania o wpływ leku na objawy HD. Po drugie, badanie potwierdziło, że cysteamina ma bardzo dobry profil bezpieczeństwa u pacjentów z HD, co oznacza, że nie powoduje niemożliwych do zaakceptowania skutków ubocznych u ludzi, którzy ją przyjmują.

Uzbrojona w nową wiedzę Raptor wierzy, że potrafi teraz zaprojektować kolejne badanie



Uzbrojona w nową wiedzę Raptor wierzy, że potrafi teraz zaprojektować kolejne badanie rejestracyjne cysteaminy, z większą szansą na sukces.  
Foto: Freemages

rejestracyjne cysteaminy, z większą szansą na sukces (na przykład badanie, w którym cysteamina spowolni postęp objawów wyraźniej niż placebo).

Nie potrafimy przewidywać przyszłości, zatem nie wiemy, czy próba tego rodzaju dojdzie do skutku. Jednak doświadczenie mówi, że cysteamina ma do przebycia trudną drogę. Inne substancje ubiegające się o aprobatę do stosowania w HD, takie jak kreatyna i koenzym Q10, które nie przeszły kluczowych badań klinicznych nie radziły sobie najlepiej w kolejnych rundach klinicznej weryfikacji. Dlatego też studzimy nasze emocje związane z nowym badaniem cysteaminy, zachowujemy sporą dawkę ostrożności.

## Przesłanie końcowe

Oczywiście jesteśmy rozczarowani, że wyniki próby CYST-HD nie były bardziej pozytywne, ale trzeba pamiętać, że każde badanie kliniczne HD - również zakończone porażką - daje nam wiedzę i praktykę, by przyszłe badania były lepsze. Szukanie właściwego znaczenia wyników pomoże nam przejść od nieudanych prób do skutecznego leczenia na HD.

---

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

---

## Słownik

**pierwszorzędowy punkt końcowy** główne pytanie stawiane w badaniu klinicznym

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

**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 2011-2018. 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](http://hdbuzz.net)

Wygenerowano styczeń 18, 2018 — Pobrane z <https://pl.hdbuzz.net/209>