

Neuigkeiten aus der Huntington-Forschung. In einfacher Sprache. Von Wissenschaftlern geschrieben Für die Huntington-Gemeinschaft weltweit.

Die Universität von New Orleans hat KEINE Heilung der Huntington Krankheit entdeckt



Die Wissenschaft hinter ungewöhnlicher Pressemitteilung, die behauptet: "Weg zur Verzögerung der HK Symptome" entdeckt

Von Dr Ed Wild am 19. Februar 2013

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll; Übersetzt von Michaela Grein

Ursprünglich veröffentlicht am 28. Januar 2013

Eine aktuelle Pressemitteilung der Universität von New Orleans (UNO) behauptet, ihre Forscher haben "einen Weg zur Verzögerung der Symptome der tödlichen Huntington Krankheit" entdeckt. Musik in den Ohren der Huntington Familienmitglieder überall. Aber wird die Wissenschaft dem Hype gerecht? Die kurze Antwort lautet leider nein.

Die Wissenschaft

Die Wissenschaft hinter der Pressemitteilung konzentriert sich auf das **Rhesus** Protein. Die beiden Buchstaben "es" in diesem Namen stehen für "im Striatum angereichert", weil der Teil des Gehirns, wo das meiste Rhesus gefunden wird, **Striatum** genannt wird.

Tatsächlich ist es auch das Striatum, wo die Neuronen bei der Huntington Krankheit frühzeitig sterben. Aus diesem Grund und weil es den Zellen sagt, welche Proteine loszuwerden sind, hat Rhesus die Aufmerksamkeit unter Forschern geweckt, die versuchen, die Huntington Krankheit zu verstehen und Behandlungen zu entwickeln.

Einige frühere Untersuchungen legten nahe, dass das Rhesus Protein ein "Komplize" des mutierten Huntingtin Proteins sein könnte, um die Neuronen zu schädigen. Das Bild war nicht so klar, seitdem andere festgestellt haben, dass es eine schützende Wirkung haben könnte. Also bleibt Rhesus ein Teil des Puzzles.

Unter der Leitung von Dr. Gerald LaHoste haben Forscher an der UNO durch Gentechnik und Kreuzungen spezielle Mäuse entwickelt. Sie wollten sehen, ob es Mäusen, die das schädliche mutierte Huntingtin Protein herstellen, besser oder schlechter ging, wenn sie **ebenfalls** weniger als die normale Menge an Rhesus herstellen.



Die an Rhesus mangelnden "Huntington Mäuse" wurden erfolgreich gezüchtet und für sechs Monate durch eine Reihe von Tests beobachtet. Die Rhesus mangelnden Mäuse wurden noch immer krank und entwickelten Bewegungsprobleme, aber das geschah viel langsamer als bei den "Huntington Mäusen", die eine normale Menge an Rhesus produzierten. Der Unterschied bedeutete etwa einen Wert von zwei Monaten bei der Verschlechterung.

Diese Verbesserung der Bewegungssymptome der Mäuse ist vielversprechend war aber nicht die ganze Geschichte. Wie bei Huntington Patienten schrumpft das Gehirn dieser "Huntington Mäuse". Es stellt sich heraus, dass Mäuse Rhesus mangelnd zu machen, von sich aus **ebenfalls** die Schrumpfung des Gehirns verursachte. Offensichtlich ist die Schrumpfung des Gehirns nichts, wonach wir als Nebeneffekt für eine Huntington Therapie suchen.

Dies könnte ein vielversprechender Start für eine lange Reise sein, aber die Menge an Arbeit, um von einem Genveränderungsexperiment dieser Art zu einem Medikament zu gelangen, das menschlichen Patienten hilft, ist riesig und wird viele Jahre dauern, mit dem Potenzial zum Scheitern in jeder Phase, vor allem wenn der Sprung von den Mäusen zum Menschen gemacht wird.

Es gibt viele Gründe, warum sich die Ergebnisse bei Tieren oft nicht auf den Patienten übertragen lassen. Hier ist es erwähnenswert, dass die Mäuse in dieser Arbeit nur ein kleines Fragment des Huntingtin Proteins herstellen, was sie zu einem ungenaueren Modell der menschlichen Huntington Krankheit als andere Mäuse macht, die hätten verwendet werden können. Und die berichteten 16 % Verzögerung der Symptome - obwohl besser als nichts - sind sicherlich nicht die größte Verbesserung, die bei einer genetischen Veränderung gesehen wurde.

Die Pressemitteilung

Pressemitteilungen sind ein zweischneidiges Schwert. Sie sind ein nützlicher Weg, um die Botschaft über den Durchbruch der Forschung hervorzubringen. Aber zu oft werden sie in einer Art und Weise geschrieben, die Aufmerksamkeit erregt und die veröffentlichten wissenschaftlichen Erkenntnisse überbewertet.

Um es höflich auszudrücken, wir haben größere Vorbehalte gegenüber der Pressemitteilung, die die UNO wählte, um diese Arbeit zu verkünden. Sie enthält eine Reihe von Behauptungen, die die Hoffnung der Menschen über den zukünftigen Verlauf erhöhen könnte, der sehr unwahrscheinlich geliefert werden wird.

Es kann viele Gründe hierfür geben, und um es klar zu machen, wir sagen nicht, dass jemand absichtlich getäuscht hat. Aber "über Wert verkaufen" ist etwas wogegen sich Wissenschaftler und Universitäten schützen müssen.

“Verzögerung der Symptome der Huntington Krankheit”



Diese Pressemitteilung

Oben angefangen behauptet die Überschrift, die Forscher haben einen "Weg zur Verzögerung der Symptome der Huntington Krankheit" entdeckt.

ist ein markantes Beispiel dafür, wie gedankenloses Schreiben Erwartungen aufblasen kann

Wie wir jetzt wissen, ist das, was sie tatsächlich entdeckt haben, eine künstliche genetische Veränderung, die Mäuse für die Auswirkungen der Huntington Mutation weniger anfällig macht, aber auch die Gehirne schrumpfen ließ. Obwohl es stimmt, dass die Symptome verzögert wurden, **bekommen Mäuse die Huntington Krankheit nicht**. Alle Forscher wissen dies, jeder, der Pressemitteilung im Huntington Umfeld veröffentlicht, muss es verhindern, Schlagzeilen zu machen, die mit der Ankündigung der "Heilung" auf die wir alle zu lesen hoffen, verwechselt werden könnten.



Ist ein wenig kreatives Überschriften-Schreiben wirklich von Bedeutung? *Ja* - und hier kommt warum.

Damit neue Huntington Medikamente beim Patienten ankommen, brauchen wir Medikamentenstudien, die in der Regel Hunderte von freiwilligen Patienten erfordern, aus einer Population vielbeschäftigter Menschen, die zu kämpfen haben, um ein normales Leben zu führen. Die Huntington Krankheit ist selten, und derzeit wählen es nur etwa 20 % der Menschen mit dem Huntington Risiko sich untersuchen zu lassen. So ist der Pool von Freiwilligen, die uns physisch helfen, Medikamente zu entwickeln, ziemlich klein, und wir verlassen uns auf den guten Willen der Menschen und den Glauben an die wissenschaftliche Einrichtung.

Wann immer jemand eine Schlagzeile liest, die gute Nachrichten für die Huntington Familien anpreist, ist dann enttäuscht, wenn die Wissenschaft daran scheitert, zu liefern, was die Überschrift versprach, dann gibt es ein Risiko, dass wir einen Freiwilligen verlieren werden - den Beginn von Behandlungen effektiv etwas weiter von uns wegschiebend. Das ist eine absolute Tragödie und eine, die leicht durch verantwortungsvolles öffentliches Engagement vermieden wird.

“Die erste Behandlung?”

Des Weiteren sagt der Hauptautor des Artikels Dr. LaHoste "Ich glaube, dass diese Erkenntnisse wichtig sind, weil sie zur Entwicklung der ersten Behandlung für diese schreckliche Krankheit führen können." Aber der Rhesus-Weg ist ein relativer Neuling auf der Liste der Ziele zur Entwicklung von Medikamenten für die Huntington Krankheit, und die Lücke zwischen dem, ein Ziel genetisch zu verändern, wie LaHoste's Team es hier gemacht hat, und einer Pille, die von den Patienten eingenommen wird, bedarf es viele Jahre zu überbrücken.

Also mag LaHoste's Aussage das Potenzial dieser Arbeit wohl überschätzen. Aber zur gleichen Zeit **unterschätzt** sie den Fortschritt bei der Entwicklung von Medikamenten, der von der globalen Huntington Forschungsgemeinschaft gemacht wurde.

In der Tat sind experimentelle Behandlungen wie die Huntingtin Genstummschaltung so weit fortgeschritten, dass wir menschliche Studien am Huntington Patienten im nächsten Jahr oder

so zu beginnen erwarten - Behandlungen mit der höchsten Hoffnung auf Erfolg, die wir je gesehen haben.

Also, während es theoretisch möglich ist, dass Rhesus-zielgerichtete Medikamente die ersten Behandlungen zum Verlangsamen der Huntington Krankheit sein könnten, gibt es viele andere Ansätze, die näher am Erfolg sind.

Warum sind dort Statine drin?

Eine Aussage in der Pressemitteilung ist besonders rätselhaft. Sie lautet: "Auf der Grundlage ihrer Erkenntnisse glauben sie, dass eine Klasse von Cholesterin-senkenden Medikamenten, namens Statinen, die Symptome der Huntington Krankheit beim Menschen deutlich verlangsamen könnte." Seltsam ist, dass weder Cholesterin noch Statine in dem aktuellen Forschungsartikel erwähnt werden. Darüber hinaus wissen wir von keiner Verbindung zwischen Rhesus und Statinen.

Also scheint diese Aussage nicht durch die berichtete wissenschaftliche Arbeit gerechtfertigt, und hat das Potenzial zu großer Verwirrung unter Patienten und Familienmitgliedern zu führen. Um es klar zu machen, es gibt **keine** Beweise aus irgendeiner Arbeit an Tieren, Menschen oder irgendetwas anderem, dass die Einnahme von Statin-Medikamenten bei der Huntington Krankheit hilfreich ist.

Mäuse sind keine Menschen!

Ein wenig weiter unten fällt die Pressemitteilung in eine gewöhnliche Falle. Berichtend über die Verzögerung beim Symptombeginn in den genetisch veränderten Mäusen sagt sie, "relativ zur Lebensspanne dieser Mäuse bedeutet die Verzögerung übersetzt für Menschen etwa 5 Jahre."

Unserer Meinung nach ist dies eine sehr unkluge Sache vorzuschlagen. Sogar LaHoste's ursprünglicher Forschungsartikel warnt selbst, dass "es schwierig ist, die Lebensspanne zwischen den Arten zu vergleichen", und jeder, der der Huntington Forschung folgt, weiß, dass bisher viele der Medikamente, die im Huntington Mausmodell vorteilhaft waren, keinen Vorteile beim menschlichen Patienten brachten.

Menschlichen Nutzen aus der Arbeit mit Mäusen vorherzusagen - insbesondere mit so konkreten Bedingungen, läuft die Gefahr, falsche Hoffnung zu generieren, gefolgt von echter Enttäuschung.

Was können wir daraus lernen?

Was wir hier alles in allem haben, ist eine ziemlich einfache Studie, die von einem bescheidenen Vorteil aus der genetischen Veränderung eines Huntington Mausmodells



Unser Artikel "10 goldene Regeln zum Lesen einer wissenschaftlichen Nachrichtenmeldung" zielt darauf ab, Sie vor Enttäuschung durch überbewertete Pressemitteilungen zu schützen.

berichtet, zusammen mit einer potentiell beunruhigenden Nebenwirkung. Es liefert etwas Unterstützung zum weiteren Studium von Rhesus in der Huntington Krankheit, ist aber ein weites Stück entfernt, um direkter Nutzen für die Huntington Patienten zu sein. Die Arbeit am Rhesus-Weg wird in mehreren Laboren fortgesetzt, und wenn es einen großen Durchbruch gibt, werden wir Sie es wissen lassen.

Aber die Pressemitteilung, die die Veröffentlichung des Artikels begleitete, ist ein markantes Beispiel dafür, wie - auch wenn niemand der Beteiligten irgendeinen Schaden beabsichtigte - Erwartungen durch Hype überrepräsentiert aufgeblasen werden können, es riskieren unsere Anstrengungen zu bedrohen, um die Forschung durch die Beteiligung von Huntington Familienmitglieder zu fördern.

Vor allem drängen wir Wissenschaftler und Medienexperten Vorsicht walten zu lassen und zu Verantwortung bei der Vorbereitung von Pressemitteilungen für die Öffentlichkeit. Das UNO Kommunikationsbüro antwortete auf unsere Anfrage nach einem Kommentar zu dieser Veröffentlichung nicht.

Um sich selbst zu helfen, die Hoffnung beim Lesen von Pressemitteilungen in Zukunft zu prüfen, lesen Sie unseren Artikel "10 goldene Regeln zum Lesen einer wissenschaftlichen Nachrichtenmeldung".

Die Autoren haben keinen Interessenkonflikt offenzulegen. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...

Glossar

Therapie Behandlungen

© HDBuzz 2011-2018. Die Inhalte von HDBuzz können unter der Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License frei verbreitet werden.

HDBuzz ist keine Quelle für medizinische Ratschläge. Für weiterführende Informationen siehe

[hdbuzz.net](https://de.hdbuzz.net)

Erstellt am 21. Januar 2018 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/114>