

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

## Die 2CARE-Studie des Coenzym Q für die Huntington-Krankheit endet mit Enttäuschung



Größte HK-Medikamentenstudie zu Coenzym Q10 wegen „Aussichtslosigkeit“ gestoppt. Was heißt das für die HK-Forschung?

Von Dr Jeff Carroll am 14. August 2014

Bearbeitet von Dr Ed Wild; Übersetzt von Michaela Grein

Ursprünglich veröffentlicht am 13. August 2014

---

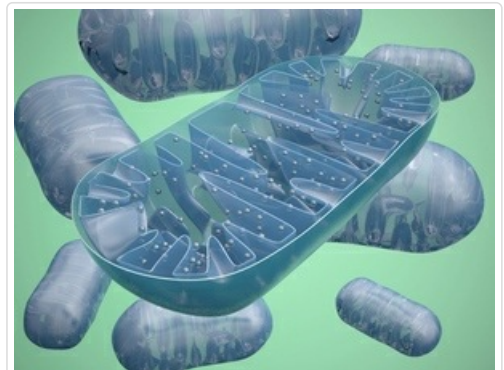
*Die größte therapeutische Studie der Huntington-Krankheit wurde Anfang dieser Woche gestoppt, weil eine Analyse der bisherigen Ergebnisse zeigte, dass es sehr unwahrscheinlich ist, dass sie positive Ergebnisse zeigen wird. Die Studie namens 2CARE wurde entwickelt, um zu untersuchen, ob eine Behandlung namens Coenzym Q10 das Fortschreiten der Huntington-Krankheit verlangsamen könnte.*

## Frühe Studien mit Coenzym Q10 bei der Huntington-Krankheit

**Coenzym Q10** oder **CoQ10** ist eine natürlich vorkommende Substanz, die in allen Zellen unseres Körpers zu finden ist. Es wird von unseren Zellen als ein wichtiger Teil des Prozesses eingesetzt, der unser Essen in chemische Energie umwandelt. CoQ10 wirkt, um hochenergetische Teilchen durch den Prozess der Energiegewinnung zu befördern.

Wenn Wissenschaftler die Gehirne von Menschen mit der Huntington-Krankheit anschauen, beobachten sie ein reduziertes Energieniveau, fast so, als ob die Kraftwerke nicht mit voller Kapazität arbeiten. Dies deutete darauf hin, dass die Stärkung der Energieproduktion vielleicht eine nützliche Behandlung für die Huntington-Krankheit sein könnte. Die Arbeit aus Mitte der 1990er Jahre lieferte einige Hinweise darauf, dass den Huntington-Patienten CoQ10-Pillen zu geben, geholfen hat, um ihre zellulären Kraftwerke auf Touren zu bringen.

Im Jahr 1996 veröffentlichten Ärzte unter der Leitung von Dr. Ira Shoulson eine kleine Studie von Coenzym Q10 bei menschlichen Huntington-Patienten. Sie beobachteten, dass das Medikament gut verträglich war, aber dass es keine positiven Auswirkungen bei der getesteten Dosis und Dauer gab - 600 oder 1.200 mg pro Tag für sechs Monate.



Fast jede Zelle unseres Körpers ist mit Kraftwerken namens "Mitochondrien" ausgestattet. Coenzym Q10 hilft den Mitochondrien, Energie herzustellen.

Die Ergebnisse einer größeren Studie mit Coenzym Q10 bei der Huntington-Krankheit wurden von der Huntington Study Group im Jahr 2001 vorgestellt. Diese Studie, die so genannte CARE-Studie, behandelte eine größere Anzahl von Patienten (347) für einen längeren Zeitraum (fast 3 Jahre). Auch hier fanden die Forscher, dass das Mittel gut vertragen wurde, aber dass es keine robusten Vorteile in Form von Huntington-Symptomen hatte.

In dieser Zeit begannen die Forscher auch zu berichten, dass hohe Dosierungen von CoQ10 einige Huntington-Mausmodelle verbesserten. Dies wirft ein kleines Rätsel auf: Warum würde das Mittel Huntington-Mäuse verbessern aber keine Huntington-Patienten?

## Einfach nicht genug?

Es gibt ein paar mögliche Erklärungen dafür, warum die Ergebnisse mit CoQ10 scheitern, um von der Maus auf menschliche Studien übertragen zu werden. Die einfachste Erklärung ist, dass CoQ10 einfach nicht funktioniert. Eine andere mögliche Erklärung ist, dass es vielleicht vorteilhafte Effekte bei der Huntington-Krankheit hat, aber eine zu niedrige Dosis getestet wurde.

Eine große Studie bei der Parkinson-Krankheit, die im Jahr 2002 veröffentlicht wurde, legte nahe, dass sehr hohe Dosierungen von Coenzym Q10 (in Höhe von 1.200 mg pro Tag) von den Patienten mit dieser Krankheit toleriert wurden. Vielleicht wurde den menschlichen Huntington-Patienten, denen CoQ10 gegeben wurde, einfach nicht genug von dem Mittel gegeben?

” Es scheint jetzt klar, dass das Coenzym Q10 bei der Huntington-Krankheit nicht funktioniert.

“

Forscher nahmen diese Frage mit zurück ins Labor und versuchten immer größere Dosierungen von Coenzym Q10 bei Huntington-Mäusen. Diese Mäuse, die die größten Dosierungen von CoQ10 erhielten, schienen am besten zu sein. In einer kleinen Studie am Menschen, die im Jahr 2010 veröffentlicht wurde, beobachteten die Forscher, dass die menschlichen Huntington-Patienten in der Lage waren, bis zu 3.600 mg CoQ10 pro Tag ohne bedeutende negative Auswirkungen einzunehmen.

So, jetzt wissen wir, dass Huntington-Patienten sehr große Dosierungen von CoQ10 einnehmen können und dass zumindest bei Mäusen diese großen Dosierungen am vorteilhaftesten sind. Durch diese Information motiviert entwickelten Forscher der Huntington Study Group **die größte Huntington-Patienten-Studie aller Zeiten** – namens **2CARE**, die aufgelegt war, um 609 Freiwillige einzuschreiben. Diese Studie würde eine sehr große Dosis von Coenzym Q10 (2.400 mg pro Tag) verwenden und Freiwillige für satte **5 Jahre** behandeln.

2CARE begann im Jahr 2008 und sollte Ende 2017 beendet werden.

## 2CARE gestoppt

Die Huntington Study Group veröffentlichte in dieser Woche eine Mitteilung auf ihrer Webseite, die angekündigt, dass die 2CARE-Studie wegen **“Aussichtslosigkeit gestoppt wurde”**. Was bedeutet das im Rahmen einer Medikamentenstudie?

Jede Medikamentenstudie verbraucht wichtige Ressourcen. Klinische Studien kosten viel Geld aufgrund der beteiligten Mitarbeiter und Ressourcen. Vielleicht noch wichtiger ist es, dass Huntington-Familien ihre Zeit, Mühe und Hoffen, auf einen Prozess setzen, der zeitaufwendig und manchmal belastend für sie sein kann.

Agenturen, die große Studien durchführen wie 2CARE, haben Möglichkeiten zur Überwachung der Fortschritte. Regelmäßige **“vorläufige Analysen”** werden durchgeführt -

wie eine Art von Boxenstopp für einen Rennwagen. Diese sind aus einer Reihe von Gründen wichtig. An der Spitze der Liste von allen steht die **Sicherheit**. Wenn die Menschen, die das Medikament einnehmen, eine Art von Gesundheitskomplikation haben, muss man es sofort wissen, damit man die Studie stoppt.

In Bezug auf die Sicherheit stellte die Pressemitteilung der Huntington Study Group fest, dass es etwas mehr Todesfälle unter den Huntington-Patienten in der 2CARE-Studie gab, die das Coenzym Q10 einnahmen (7 % der Menschen in der Q10-Gruppe) im Vergleich zu den Patienten, die die inaktiven **Placebo**-Pillen einnehmen (4 % der Menschen in der Placebo-Gruppe). Sie wiesen darauf hin, dass die Unterschiede zwischen den Gruppen (7 % gegenüber 4 %) durch Zufall geschehen sein könnten, und nicht aufgrund der medikamentösen Behandlung gewesen sein könnten.

Der andere Aspekt einer Studie, der überwacht werden kann, wird **“Aussichtslosigkeit”** genannt. Aussichtslosigkeit bedeutet Sinnlosigkeit und im Rahmen einer klinischen Studie bedeutet Aussichtslosigkeit, dass eine Zwischenanalyse zeigt, dass die Ergebnisse **so unwahrscheinlich sind, um positiv zu sein, dass es keinen Sinn hat, die Studie fertigzustellen**.

Im Fall der 2CARE-Studie legte ein früherer Blick auf den Fortschritte nahe, dass es eine Wahrscheinlichkeit von weniger als 5 % gab, dass die Studie am Ende ein positives Ergebnis aufzeigen würde, angesichts dessen wie die Dinge liefen. Mit einer so niedrigen Chance auf Erfolg verbunden mit der Sorge, dass hohe Dosierungen von CoQ10 gefährlich werden könnten, wurde die Studie vorzeitig beendet.

## Post-mortem

Es ist in Zeiten wie diesen wichtig zu fragen, was kann man aus dem Scheitern von CoQ10 bei der Huntington-Krankheit lernen?



” Huntington-Familien müssen daran denken, dass diese Ausfälle

Erstens haben viele Huntington-Patienten und Familienmitglieder Coenzym Q10 für Jahre eingenommen, aufgrund der frühen Hinweise, dass es nützlich sein könnte. Es scheint jetzt klar, dass **Coenzym Q10 bei der Huntington-Krankheit nicht funktioniert**.

einzelnen enttäuschend sein können, aber gemeinsam sind sie die einzige Möglichkeit, um eine Behandlung zu finden, die funktioniert.



Zweitens können wir jetzt die Ressourcen, die für die 2CARE-Studie verwendet wurden, umleiten auf andere Studien mit einer besseren Chance, um zu funktionieren. Das Einschreiben von mehr als 600 Patienten für 5 Jahre war ein großer Erfolg der Huntington-Gemeinschaft, und wir hoffen, dass dieses Engagement, das es darstellt, in zukünftigen Studien mit einer besseren Chance auf Erfolg wiederholt wird.

In der Tat ist es wahrscheinlich, dass in den nächsten ein oder zwei Jahren mehrere Studien starten, um auf bestimmte Mechanismen zu schauen, die der Huntington-Krankheit unterliegen, und keine Mittel, die "in der Regel von Vorteil" sind, wie Coenzym Q10. Die Patienten, die nun von der Teilnahme an 2CARE freigesetzt wurden, können diejenigen sein, die helfen, um diese neuen Studien so schnell wie möglich zum Laufen zu bringen.

Schließlich ist es als Gemeinschaft eine Überlegung wert, welche Medikamente man bei Huntington-Patienten testet. Zurückblickend war das Beweismittel, das verwendet wurde, um zu entscheiden, CoQ10 bei menschlichen Patienten zu testen, ziemlich begrenzt. In der Tat scheiterten die jüngsten Bemühungen, um die Beobachtung zu wiederholen, dass Coenzym Q10 die Huntington-Mäuse besser macht. Der frühe Stopp von 2CARE ist eine gute Gelegenheit, um innezuhalten und darüber nachzudenken, welche Beweise aus dem Labor überzeugend genug sind, um das Risiko einzugehen zukünftige Medikamente bei Huntington-Patienten zu testen.

## Und was jetzt?

Nach so viel Zeit und Mühe ist dies ein Ergebnis, das niemand wollte. Aber wenn der Weg zu einer Heilung der Huntington-Krankheit ein einfacher, gerader Weg wäre, wären wir bereits am Ende. Wir müssen daran denken, dass diese Ausfälle einzeln enttäuschend sein können, aber gemeinsam sind sie die einzige Möglichkeit, um eine Behandlung zu finden, die funktioniert. Auch ein negatives Studien-Ergebnis hilft uns, mehr über die Huntington-Krankheit zu verstehen und wie bessere Medikamente entwickelt und getestet werden, um sie zu bekämpfen. Diese Schlacht zu verlieren ist eine Enttäuschung, aber wir bleiben optimistisch über den Verlauf des Krieges gegen die Huntington-Krankheit.

---

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

---

## Glossar

**Parkinson-Krankheit** Eine neurodegenerative Krankheit, die wie die Huntington-Krankheit

motorische Koordinationsprobleme beinhaltet

**Placebo** Ein Placebo ist ein Scheinmedikament, das keine Wirkstoffe enthält. Der Placeboeffekt ist ein psychologischer Effekt, der verursacht, dass sich Menschen besser fühlen, auch wenn sie eine Tablette einnehmen, die nicht wirkt.

---

© 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 20. Januar 2018 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/171>