

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

Genau hingeschaut: Ergebnisse einer klinischen Studie mit Cysteamin



Ergebnisse der klinischen Phase 2/3-Studie beweisen, dass das Huntington-Medikament Cysteamin nicht überzeugt.

Von Melissa Christianson am 28. Dezember 2016

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll; Übersetzt von Michaela Grein

Ursprünglich veröffentlicht am 18. Dezember 2015

Anfang Dezember veröffentlichte Raptor Pharmaceuticals die Ergebnisse der klinischen Studie, die ein Medikament namens Cysteamin bei der Huntington-Krankheit untersuchte. Schlagzeilen über diese Studie gab es viele in den Medien und deshalb ist HDBuzz da, um zu analysieren, was diese neuen Ergebnisse für die Huntington-Gemeinschaft wirklich bedeuten.

Klinische Studien und Granatäpfel?

Obwohl es auf den ersten Blick nicht offensichtlich ist, haben klinische Studien und Granatäpfel etwas gemeinsam. Genauso wie das Herausheben der geschmackvollen Samen aus dem Herzen eines Granatapfels das sorgfältige Zergliedern der Schale und der Haut der Frucht erfordert, gelangt man erst durch das sorgfältige Zergliedern der Darstellung in den Nachrichten zu den Ergebnissen im Herzen von klinischen Studien.

Beide Aufgaben können schwierig und chaotisch sein, aber kein Grund zur Beunruhigung! HDBuzz ist hier, um Ihnen zu helfen, durch die überladenen Überschriften zu gelangen, um die echten Tatsachen herauszufinden und zu verstehen, was die Ergebnisse der klinischen Studie für die Huntington-Gemeinschaft bedeuten.

Wir haben bereits mehrere allgemeine Anleitungen geschrieben, die erklären, was klinische Studien sind, und wie man Pressemeldungen dazu interpretiert. Wann auch immer Sie anfangen, etwas über eine spezifische Studie zu lesen, ist das wichtigste, sich zu verdeutlichen, was an erster Stelle dieser Studie stand: **zu überprüfen, ob ein Medikament die Huntington-Krankheit verbessert.**

In diesem Artikel werden wir uns an diesen Aspekt halten, während wir Ergebnisse einer kürzlich beendeten klinischen Studie bei der Huntington-Krankheit überprüfen, die frisch aus der Presse stammen.



Genauso wie das Herausheben der geschmackvollen Samen aus dem Herzen eines Granatapfels das sorgfältige Zergliedern der Schale und der Haut der Frucht erfordert, gelangt man erst durch das sorgfältige Zergliedern der Darstellung in den Nachrichten zu den Ergebnissen im Herzen von

Etwas zum Hintergrund

Die Ergebnisse, die wir hier betrachten, kommen aus einer klinischen Phase 2/3-Studie der Huntington-Krankheit durch Raptor Pharmaceuticals. Diese Studie untersuchte Cysteamin, ein Medikament, das bereits einige frühe Hürden im Prozess der Medikamentenzulassung als eine symptomverzögernde Behandlung bei der Huntington-Krankheit genommen hat. HDBuzz hat diese Studie von Anfang an verfolgt, und wir haben in einem früheren Artikel über ihre Grundlagen berichtet.

Wir wissen aus Laborversuchen, dass Cysteamin - auch bekannt als RP103 - viele gute Dinge für das Gehirn macht. Es kann klebrige Proteine davon abhalten, das Gehirn zu verkleben, die Reparatur der Gehirnzellen anregen, das Niveau einer Chemikalie erhöhen, die die Gehirnzellen gesund hält, und überschüssiges Metall entfernen, das für das Gehirn giftig ist. Theoretisch könnten einige (oder alle) dieser Effekten dabei helfen, die Huntington-Symptome bei Menschen zu verzögern.

Aufgrund ihrer Dauer führte Raptor diese besondere klinische Studie in zwei Teilen durch. In der ersten Hälfte wurden die Teilnehmer zufällig eingeteilt, um entweder zweimal täglich Cysteamin oder einen Scheinwirkstoff einzunehmen. In der zweiten Hälfte wechselten alle, die zuvor den Scheinwirkstoff einnahmen, auf Cysteamin (und diejenigen, die bereits Cysteamin einnahmen setzten dies fort). Dieser Aufbau stellte sicher, dass kein Studienteilnehmer die vorteilhaften Effekte des Medikamentes verpassen würde, wenn sie beständen.

Wie viele klinische Studien bei der Huntington-Krankheit stellte die Studie von Raptor ein Bündel von Fragen darüber, ob, und wie das Medikament die Symptome der Huntington-Krankheit betroffen hatte. Die wichtigste dieser Fragen, die wir als ihren **primären Endpunkt** bezeichnen, und die als die Latte, für die Messung des gesamten Erfolges der Studie dient, konzentriert sich auf die Bewegungssymptome. Genaugenommen hat der primäre Endpunkt gefragt, ob die Einnahme von Cysteamin den Fortschritt der Bewegungssymptome verlangsamen würde, der normalerweise bei der Huntington-Krankheit vorkommt. Die Studie hat auch bewertet, ob Cysteamin andere Dinge, wie die gesamte Funktion, die Unabhängigkeit und die Sicherheit betroffen hatte.

Endresultate verpassen ihr Ziel

Die CYST-HD-Studie ist jetzt abgeschlossen und ihre Endergebnisse liegen vor. Raptor veröffentlichte Anfang Dezember eine Bekanntgabe mit einer Vorschau auf diese Ergebnisse.

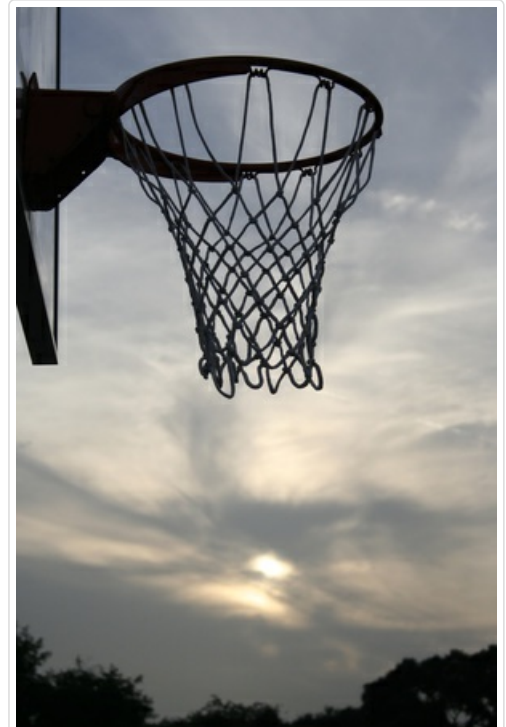
Für jede klinische Studie sind die kritischsten Ergebnisse diejenigen, die mit dem primären Endpunkt verbunden sind. Erinnern Sie sich, dieser Endpunkt bestimmt, ob wir - und Regierungsstellen wie die FDA, die schließlich dafür verantwortlich ist, ein Medikament für die Anwendung bei der Huntington-Krankheit zuzulassen - die Studie insgesamt als einen Erfolg oder Misserfolg betrachten.

Leider verpasste die CYST-HD-Studie ihren primären Endpunkt. Obwohl die Bewegungssymptome bei den Leuten, die Cysteamin einnahmen, dazu neigten, langsamer

fortzuschreiten, als bei denjenigen Leuten, die das Scheinmedikament nahmen, war diese Wirkung nicht groß oder konsequent genug, um als *statistisch bedeutend* (mehr dazu später) betrachtet zu werden.

Außerdem, obwohl die Effekte des Medikaments auf die Bewegungssymptome etwas ausgeprägter waren, als Raptor auf genau eine spezifische Teilmenge der Studienteilnehmer schaute, waren sie noch immer nicht statistisch bedeutend.

Dennoch, in Kombination mit einigen anderen Untersuchungen der Studie im Zusammenhang mit der Alltagsfunktion und Unabhängigkeit, deuten diese spannenden Trends an, dass Cysteamin bei der Huntington-Krankheit leichte Effekte haben könnte, auf einer Art und Weise, die durch die Hauptanalyse der Studie nicht betrachtet wurde.



Leider verpasste die Studie durch Raptor ihren primären Endpunkt.
Quelle: Freemages

Ist statistisch bedeutend wirklich bedeutend?

Um zu verstehen, was diese Mischung aus Ergebnissen für die Huntington-Gemeinschaft bedeutet, ist es wichtig, unsere Gedanken auf den Anfang dieses Beitrags zu richten: **Wir führen klinische Studien durch, um zu überprüfen, ob ein Medikament die Huntington-Krankheit verbessert.**

Wir alle - Forscher, Medikamentenfirmen und insbesondere die Gemeinschaft der Patienten - will wirklich Medikamente finden, die bei der Huntington-Krankheit einen Unterschied machen. Jedoch kann dieser Wunsch uns manchmal in die Gefahr bringen, auf Tendenzen einzugehen, die nicht echt sind oder noch gefährlicher, an ein Medikament zu glauben, das in Wirklichkeit nicht funktioniert.

Statistiken helfen, diese Gefahren zu lindern, indem sie uns sagen, ob die Ergebnisse einer klinischen Studie glaubwürdig oder wahrscheinlich eher ein Glücksfall sind.

Wenn wir sagen, dass die Ergebnisse für den primären Endpunkt bei der Raptor-Studie nicht „statistisch signifikant“ waren, dann ist dies eine große Aussage. Es bedeutet, dass die Wirkungen des Medikamentes in der Studie leicht ein Zufall sein könnten. Mathematisch gesprochen hat Cysteamin die Huntington-Symptome nicht anders beeinflusst als das Scheinmedikament. Daher haben wir auch nach dieser 3-jährigen Studie **noch keine Beweise, dass Cysteamin die Huntington-Krankheit verbessert.**

Was machen wir jetzt?

Obwohl die Raptor-Studie es nicht schaffte, ihren primären Endpunkt zu treffen, können wir zwei

interessante und potenziell wichtige Informationen aus ihr mitnehmen.

Zuerst gab uns die Studie vereinzelte Hinweise, dass Cysteamin vielleicht auf eine subtile Weise einige Huntington-Symptome bei einigen Personen verzögern könnte. Daher ist das Nutzenziehen aus diesen Effekten theoretisch noch immer möglich, vielleicht, indem man auf eine etwas andere Patientengruppe schaut oder durch verschiedene Fragen darüber, wie das Medikament auf die Huntington-Symptome wirkt. Zweitens bestätigt die Studie, dass Cysteamin ein ziemlich gutes Sicherheitsprofil bei Huntington-Patienten hat, was bedeutet, dass es keine nicht tolerierbaren Nebenwirkungen bei den Menschen verursacht, die es einnehmen.

Mit diesem neuen Wissen bewaffnet, glaubt Raptor, genug gelernt zu haben, um eine neue Studie zur Zulassung von Cysteamin mit einer größeren Aussicht auf Erfolg zu entwerfen (z. B. eine Studie bei der Cysteamin den Fortschritt der Symptome stärker verlangsamt als ein Scheinmedikament dies machen würde).

Wir können die Zukunft nicht voraussagen, also wissen wir nicht, ob eine Studie dieser Art gut laufen würde. Jedoch sagt uns die Geschichte, dass der Weg, der vor Cysteamin liegt, eine zäher ist. Andere Huntington-Medikamentenkandidaten, wie Kreatine und CoQ10, die klinische Schlüsselstudien nicht bestanden haben, haben in späteren Runden der klinischen Prüfung nicht gut abgeschnitten. Wir mildern deshalb unsere Aufregung über eine neue Cysteamin-Studie mit einer angemessenen Dosis der Warnung.

Nachricht zum Mitnehmen

Natürlich sind wir enttäuscht, dass die CYST-HD-Studienergebnisse nicht positiver waren, aber es ist wichtig sich daran zu erinnern, dass jede klinische Huntington-Studie - sogar diejenige, die scheitert - uns Kenntnisse und Erfahrung liefert, um zukünftige Studien zu verbessern. Das genaue Hinschauen auf die Medienwelle, um zu verstehen, was klinische Studienergebnisse wirklich bedeuten, wird uns helfen, von Fehlstarts weiter zu einer wirksamen Huntington-Behandlung zu gelangen.



Mit diesem neuen Wissen der CYST-HD-Studie bewaffnet, glaubt Raptor, genug gelernt zu haben, um eine neue Studie mit Cysteamine zu entwerfen mit einer größeren Aussicht auf Erfolg.

Quelle: Freemages

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

Glossar

Klinische Studie Sehr sorgfältig geplante Experimente werden entwickelt, um spezifische

Fragen zu beantworten, wie ein Medikament sich auf den Menschen auswirkt.

© 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

Erstellt am 30. Januar 2018 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/209>