

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

Wie man Nachrichten über eine klinische Studie NICHT schreiben sollte



Telegraph veröffentlicht verwirrende Geschichte über eine Huntington-Stummschaltungstherapie - trotz besserer News!

Von Dr Jeff Carroll am 18. Juli 2016

Bearbeitet von Dr Tamara Maiuri; Übersetzt von Christian Schnell

Ursprünglich veröffentlicht am 10. März 2016

Ein kürzlich erschienener Artikel in der britischen Zeitung Daily Telegraph begeisterte Huntington-Familien. Der Titel "Erstes Medikament, das die Huntington-Krankheit heilt, für Studie in Menschen zugelassen" klingt in der Tat aufregend. Aber was passiert eigentlich wirklich? HDBuzz ist hier um uns helfen, Hoffnung von Hype in der Huntington-Stummschaltungs-Welt zu trennen.

Der Tippfehler, der um die Welt ging

Die britische Zeitung "Daily Telegraph" stelle kürzlich einen Artikel mit dem folgenden Artikel auf seine Webseite: "Erstes Medikament, das die Huntington-Krankheit heilt, für Studie in Menschen zugelassen". Ein erstes Anzeichen dafür, dass der Artikel über Huntington nicht besonders gut recherchiert ist, ist die Tatsache, dass sie "Huntington" als "Hundingdon" falsch geschrieben haben.

Die Autoren des Artikels sind außerdem wohl im Besitz einer Zeitmaschine. Sie schrieben nämlich, dass die Forschungsarbeiten, die sie beschreiben, "auf dem 68. Jahrestreffen der Amerikanischen Akademie für Neurologie in Vancouver, Kanada, vom 15. bis 21. April 2016 präsentiert wurde". Ein ziemlich guter Trick, wenn man bedenkt, dass der Artikel bereits am 26. Februar 2016 online gestellt wurde.



Eine verstümmelte Nachrichtengeschichte über Huntington im Daily Telegraph könnte Familien von einer großartigen Leistung abgelenkt haben.

Was sind die eigentlichen Neuigkeiten des Artikels?

Was ist also die eigentliche Nachricht, die sich hinter diese Geschichte versteckt? Die HK-Medikamentenstudie, die hier beschrieben wird, ist eine "Huntington-Stummschaltungsstudie", bei der sogenannte *Gegenstrang-Oligonukleotide* (englisch: antisense oligonucleotides, ASO)

auf ihre Sicherheit und Effektivität gegen Huntington getestet werden. Möglicherweise kommt Ihnen das bekannt vor, weil wir auch darüber schon einen Artikel veröffentlicht haben: <http://de.hdbuzz.net/204>.

Kurz zusammengefasst: Eine Firma namens Ionis, früher unter dem Namen Isis bekannt, hat ein Medikament entwickelt, das die Menge von schädigendem Huntingtin-Protein in Zellen verringert. In Zusammenarbeit mit der Pharmafirma Roche und einem weltweiten Team von Ärzten testet die Firma ob das Medikament in HK-Patienten in einem frühen Stadium der Krankheit sicher ist. Natürlich hoffen wir nicht nur, dass das Medikament sicher ist, sondern auch die Symptome verbessert oder sogar das Fortschreiten der Krankheit verlangsamt, aber die Antworten auf diese Fragen werden erst künftige Studien beantworten können.

Ionis konnte schon zeigen, dass die ASO-Medikamente die Gesundheit von Huntington-Mäusen verbessert. Das ist zwar sehr schön, aber es zeigt definitiv nicht, dass diese Medikamente die Huntington-Krankheit umkehren können, wie es in dem Artikel beschrieben wurde, denn: **Nur Menschen haben die Huntington-Krankheit!** Die Laborergebnisse mit dem Ionis-Medikament an Huntington-Mäusen sind zwar sehr vielversprechend, aber nur Studien in Menschen können uns zeigen, ob diese Medikamente auch irgendetwas gegen die HK anrichten können.

Warum wurde dann so eine Nachricht überhaupt geschrieben? Leider ist es fast zum Normalfall geworden, dass Zeitungen wie der Daily Telegraph auf

Pressemitteilungen von Pharmafirmen, Universitäten und akademischen Gesellschaften als Quelle für Wissenschaftsnachrichten angewiesen sind. Nur ein klein wenig Recherche hätte in diesem Fall bereits gezeigt, dass die Studie, die angekündigt werden soll, in Wirklichkeit schon läuft und dass es keine Neuigkeiten darüber gab, die irgendwen interessieren würde. Leider ist sorgfältiger Wissenschaftsjournalismus nicht mehr wirklich im Fokus vieler Nachrichtenagenturen.

Also keine Neuigkeiten?

Während die Medikamentenstudie aus der Telegraph-Nachricht den HDBuzz-Lesern bereits bekannt war, gab es andere große Fortschritte, über die Sie möglicherweise noch nichts gehört haben.

Ionis testet seine ASO-Technologie auch für andere Hirnkrankheiten neben Huntington. Eine von diesen ist eine schreckliche Kinderkrankheit namens *spinale Muskelatrophie*, welche zu einem fortschreitenden Verlust der Muskelfunktion und üblicherweise zu dauerhafter Behinderung und zum frühen Tod führt.

”

Während die im Telegraph-Artikel beschriebene klinische Studien den HDBuzz-Lesern bereits bekannt war, gab es einen großartigen Fortschritt in diesem Forschungsfeld, vom dem Sie vermutlich noch nichts gehört haben.

“

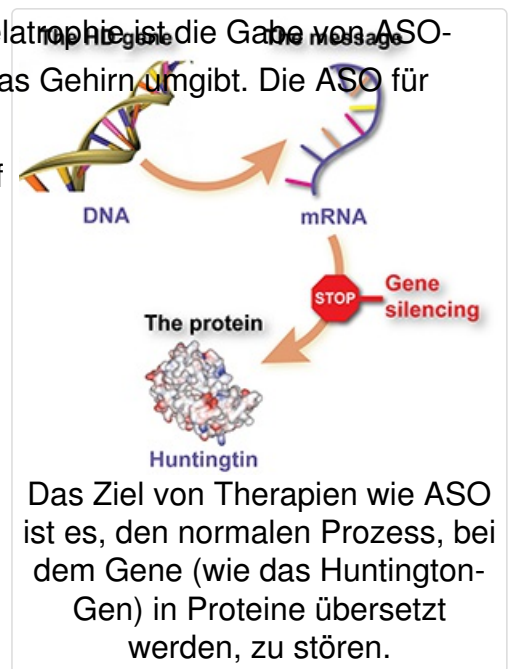
Eine experimentelle Behandlungsstrategie für spinale Muskelatrophie ist die Gabe von ASO-Medikamenten in die Flüssigkeit, die das Rückenmark und das Gehirn umgibt. Die ASO für diese Krankheit haben eine andere Sequenz als die, die Ionis für die Huntington-Krankheit testet, aber sie werden auf eine sehr ähnliche Weise gegeben und haben auch eine ähnliche chemische Struktur.

So waren es also großartige Nachrichten, als eine Gruppe von Forschern am 8. März eine Studie publizierte, in der sie den erfolgreichen Abschluss der Sicherheitsstudien für ein ASO-Medikament gegen die spinale Muskelatrophie vermeldeten! Diese Studie, die sehr große Ähnlichkeiten zu der Studie hat, die Ionis und Roche gerade für Huntington durchführen, sollte zeigen, ob die Behandlung sicher ist und von den Kindern mit spinaler Muskelatrophie gut vertragen wurde.

Ähnlich wie in der Huntington-Studie müssen die ASO für die spinale Muskelatrophie auch direkt in die Rückenmarksflüssigkeit gegeben werden. Dies ist eine übliche Routineprozedur für Neurologen und ist der Epidural-Anästhesie bei Frauen während einer Geburt sehr ähnlich. Trotzdem ist diese Methode offensichtlich komplizierter als das Schlucken einer Tablette. Es waren also gute Neuigkeiten, dass die Kinder mit spinaler Muskelatrophie diese Methode ohne größere Komplikationen sehr gut vertragen haben.

Diese Studie gibt uns außerdem wichtige neue Informationen darüber, wie lange die ASO in der Flüssigkeit im Gehirn überdauern. Die Forscher fanden 4 bis 5 Monate nach der Injektion immerhin noch die Hälfte des injizierten Medikaments, was bedeutet, dass man Patienten in zukünftigen Studien diese Prozedur seltener zumuten muss.

Ein anderes wichtiges Ergebnis der Studie war, dass die Kinder mit der höchsten Medikamenten-Dosis tatsächlich verbesserte Symptome zeigten, was nicht das erwartete Ergebnis war. Die Teilnehmerzahlen dieser Studie waren sehr klein (nur 10 Kinder waren in der Gruppe, die Verbesserungen zeigte), aber dies sind unglaublich tolle Neuigkeiten für die leidenden Familien und verstärkt unsere Hoffnungen für die ASO-Studie in Huntington.



” So waren es also großartige Nachrichten, als eine Gruppe von Forschern am 8. März eine Studie publizierte, in der sie den erfolgreichen Abschluss der Sicherheitsstudien für ein ASO-Medikament gegen die spinale Muskelatrophie vermeldeten!

“

Die lautesten Meldungen sind nicht die besten!

Diese geschäftige Huntington-Nachrichten-Woche erinnerte uns an die Hochs und Tiefs, wenn man die Nachrichten über die Huntington-Forschung verfolgt. Manchmal stellt sich das, was grandios und neu erscheint, als schon bekannt heraus und wurde von den Medien für eine

“großartige” Geschichte aufgebauscht. Aber trotzdem gibt es wirklich wichtige Fortschritte in den Kliniken und Laboren dieser Welt, die uns realistische Hoffnungen für wirksame Behandlungen gegen Huntington machen. Unser Rat: Versuchen Sie die lautesten Meldungen auszuschalten. Wenn es wirklich Wichtiges passiert, werden Sie es hier erfahren!

Ed Wild, Co-Editor-in-chief von HDBuzz, ist eine der teilnehmenden Ärzte in der Ionis-HTTRx-Studie. Dr. Wild war weder am Verfassen oder Editieren dieses Artikels beteiligt noch an der Entscheidung, diesen zu publizieren. Autor Jeff Carroll hat eine lang-andauernde finanzielle Kollaboration mit Ionis Pharmaceuticals, die aber nicht das Medikament für die HTTRx-Studie beinhaltet. Keine Mitarbeiter von Ionis oder Roche waren am Schreiben oder Editieren dieses Artikels beteiligt. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...

Glossar

Huntingtin-Protein Das Protein, das vom Huntington-Gen hergestellt wird.

© 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 16. Januar 2018 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/215>