Forskningsnyheder om Huntingtons Sygdom På hverdagssprog Skrevet af forskere. Til det globale HS-fællesskab

Kan en 'hjene-transporter' få lægemidler mod Huntingtons Sygdom hen hvor der er brug for dem?

Roches 'hjerne-transporter' sniger lægemidler over barrieren. Virker det også for HS genhæmningslægemidler?

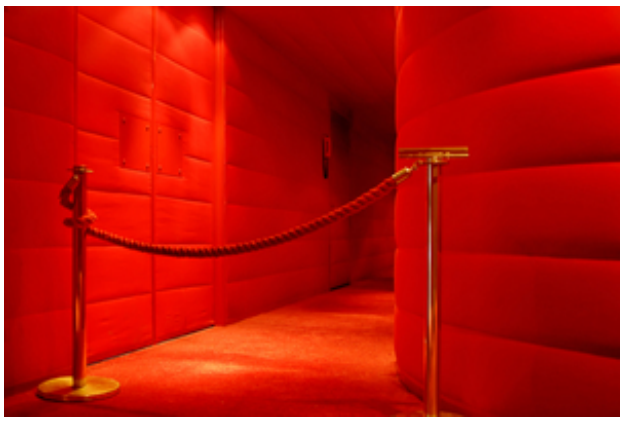
Skrevet af Dr Jeff Carroll den 24. marts 2014
Redigeret af Dr Ed Wild; Oversat af Majken Siersbæk
Oprindelig offentliggjort 20. januar 2014

Den farmaceutiske gigant Roche har for nylig beskrevet en ny lægemiddel-leverings-teknologi kaldet 'hjerne-transporter'. Hvorfor er Huntingtons Sygdom blevet nævnt så mange gange i pressemeddelelser omkring denne teknologi, og hvad kan vi forvente at få ud af dette fremskridt?

Blod-hjerne-barrieren

Udvikling af nye lægemidler er vanskelig og har en ekstrem høj fejlprocent. Forskning antyder, at i betragtning af hvor mange dyre lægemiddelforsøg, der er negative, så koster hvert lægemiddel omkring en milliard dollars at få på markedet!

Som om det ikke lyder slemt nok så er det endnu sværere for forskere at udvikle lægemidler til hjernesygdomme som Hungtingtons Sygdom. Dette skyldes delvist hjernens store kompleksitet og de mange mysterier, der stadig eksiterer. Men en anden komplikation er tilstedeværelsen af



Hjernen er meget kræsen når det drejer sig om hvilke kemikalier

noget kaldet **blod-hjerne-barrieren**, der virker som et kræsent filter, eller en streng udsmider på en natklub, og ekskluderer de fleste substanser fra hjernen, hvis de ikke er på 'gæstelisten'.

den tillader at komme ind fra blodet. Meget få substanser er på hjernens VIP-gæsteliste.

I betragtning af hvor vigtig hjernen er for vores overlevelse og hvor skrøbelige vores hjerner er, så er blod-hjerne-barrieren et meget vigtigt forsvar mod giftige stoffer og fremmede organismer der vil ind i vores hjerne. Ulempen ved den store "væg" mellem hjernen og blodet er, at det er meget vanskeligt at designe lægemidler, der kan komme ind i hjernen.

Delvis som konsekvens af denne barriere, er fejlraten for lægemidler mod hjernesygdomme endnu højere end for andre sygdomme.

Antistof-lægemidler mod Alzheimers Sygdom

Taget i betragtning hvor mange mennesker, der er påvirket af Alzheimers Sygdom, så er det et fristende mål for farmaceutiske firmaer at udvikle lægemidler for denne sygdom. Ethvert firma med evnerne og tilstrækkelig held til at udvikle et effektivt lægemiddel mod Alzheimers Sygdom kunne opnå enorme profitter.

En vigtig teori bland forskere, der arbejder med Alzheimers Sygdom er, at de hukommelses- og tankevirsomhedsproblemer patienterne lider af skyldes ophobning af proteinklumper som forskerne kalder **aflejringer**. Disse aflejringer optager pladsen mellem cellerne i hjernen, og ser ud til at medføre død og dysfunktion af hjernecellerne omkring dem.

I en musemodel for Alzheimers Sygdom kan man fjerne disse aflejringer i hjernen ved at stjæle en teknik fra immunsystemet. Når vores krop indvaderes af sygdomsfremkaldende organismer, vil vores krop forsøge at bekæmpe dem ved at udvikle **antistoffer**, som kort fortalt er en specialfremstillet sensor, der genkender den indvaderende organisme og kalder på immunsystemet til at fjerne den.

Forskere har udviklet antistoffer, der genkender aflejringer fundet i hjernen på patienter med Alzheimers Sygdom og hjælper med at fjerne dem. I mus ser dette ud til at resultere i forbedring af hukommelse og tankevirksomhed.

> ‘Transporteren’ virkede idet den øgede indtrængningen af antistoffet til hjernen og dermed hjalp med at fjerne protein-aflejringer i hjernerne hos behandlede mus.

Hvorfor har vi brug for en hjerne-transporter?

Problemet er løst, eller? Nej, ikke rigtigt. For det første er det ikke klart ud fra de forsøg, der indtil videre er udført, hvorvidt reduktion af aflejringerne i menneskehjerner vil være lige så gavnlig for patienter med Alzheimers Sygdom som for mus.

For det andet så er antistoffer store molekyler og blod-hjerne-barrieren forhindrer dem stort set helt i at komme ind i hjernen når de sprøjtes ind i blodet. Dog er det ikke klart om det er derfor disse lægemidler ikke kunne bruges mod Alzheimers Sygdom, men denne begrænsning hjælper i hvert fald ikke.

Den farmaceutiske gigant Roche har fornylig beskrevet en ny teknologi som de kalder **hjerne-transporter**, der er designet til at afhjælpe dette problem. I en nylig udgivet artikel beskriver de brugen af denne teknik til antistof-terapi ved Alzheimers Sygdom.

Hjernen har brug for specifikke næringsstoffer og tilførsel af andre ting fra blodet. Derfor er der biologiske processer, der pumper de ønskede substanser ind til hjernen. Ved at kapre en helt specifik af disse pumper - den der bringer jern ind i hjernen - håber Roche at kunne snige et lægemiddel over blod-hjerne-barrieren.

Forskerne fra Roche tog et antistof, der fjerner aflejringer i Alzheimers Sygdom, og fusionerede det med deres hjerne-transporter, og håbede, at det ville blive optaget i hjernen sammen med jern. Det virkede idet det øgede indtrængningen af antistoffet i hjernen og hjalp dermed med at fjerne aflejringer i hjernen hos de behandlede mus.

Faktisk har forskere brugt dette trick i laboratoriet i årtier. Det Roche har udviklet er en mere effektiv måde at få hjerne-transporteren fra blodet ind i hjernen, hvor den skal bruges.

Roches 'hjerne-transporter' fasthæfter et lægemiddelmolekyle til et andet molekylde, som allerede er på hjernens gæsteliste hvorved optagelsen af lægemidlet fra blodet øges.

Hvad har dette at gøre med HS?

Mange pressemeddelelser opreklamerer den potentielle brug af denne teknologi i andre sgydomme, inklusiv Huntingtons Sygdom. Tilbage i april 2013 begejstrede Roche HS-samfundet ved at annoncere en kæmpe aftale med 'Isis Pharmaceuticals', en californisk bioteknologivirksomhed, der arbejder på genhæmmende lægemidler mod HS.

Det genhæmmende lægemiddel som Isis og andre firmaer udvikler til HS er stort ligesom antistof-lægemidlet udviklet mod Alzheimers Sygdom af andre firmaer. Det vil derfor have problemer med at krydse blod-hjerne-barrieren. Håbet er, at fremtidige studier viser, at 'hjerne-transporteren' fra Roche kan hjælpe genhæmmende lægemidler, og måske andre lægemidler, ind i hjernen hvor de skal bruges mod HS.

Det vigtigste at huske

Dette studie beskriver et nyt værktøj som lægemiddelforskere benytter for at få store lægemidler ind i hjernen. I teorien kunne det være brugbart for HS-behandlinger som genhæmning, der bygger på store molekyler, der

har problemer med at komme ind i hjernen. Dog er der endnu ingen, der har testet ‘hjernen-transporteren’ til at levere HS-specifikke lægemidler i dyremodeller eller mennesker, men det er helt sikkert højt på dagsordnen for Roche og deres samarbejdspartnere.

Dr. Carroll har samarbejdet videnskabeligt med 'Isis Pharmaceuticals', der nævnes i denne artikel. Isis bidrager kontinuerligt med ikke-financiel støtte til forskningen i hans laboratorium, men har ikke haft indflydelse på udkastet eller indholdet af denne artikel. Dr Wild har ingen forbindelse til Isis eller Roche. For mere information om vores offentliggørelsespraksis kig under FAQ...

Ordliste

Genhæmning en måde at behandle HS på hvor der benyttes målrettede molekyler, der fortæller cellerne, at de ikke skal producere det skadelige huntingtin-protein.

Terapi behandlinger

© HDBuzz 2011-2015. Indholdet på HDBuzz kan frit deles under en Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.
HDBuzz er ikke en kilde til lægefaglige råd. For mere information besøg hdbuzz.net
Dannet 22. oktober 2015 — Downloaded fra http://da.hdbuzz.net/154