

Forskningsnyheder om Huntingtons Sygdom

På hverdagsprog Skrevet af forskere.

Til det globale HS-fællesskab

[Nyheder](#) [Ordliste](#) [Om HDBuzz](#)
[Om HDBuzz](#)

[Hvem er vi](#) [FAQ](#) [Juridisk information](#) [Finansiering](#) [Del indhold](#) [Statistik](#) [Emner](#) [Kontakt os](#)

[Følg](#)

[Følg](#)

[Twitter](#) [Facebook](#) [RSS Feed](#) [Email](#)

[Søg på HDBuzz](#)

Søg på HDBuzz



[dansk](#)

[dansk](#)

[čeština](#) [dansk](#) [Deutsch](#) [English](#) [español](#) [français](#) [italiano](#) [Nederlands](#) [norsk](#) [polski](#) [português](#) [svenska](#) [русский](#) [中文](#)

[Mere information...](#)

Leder du efter vores logo? Du kan downloade vores logo og få oplysninger om, hvordan det må bruges på vores [side om deling af indhold](#)

Spændende fremskridt med "inducerede" stamceller

Stamceller fra HS-patienter er blevet vigtige arbejdsværktøjer for forskere - og deres HS-mutation kan "repareres"



Skrevet af [Dr Jeff Carroll](#) 19. juli 2012 Redigeret af [Dr Ed Wild](#) Oversat af [Signe Marie Borch Nielsen](#) Oprindeligt offentliggjort 6. juli 2012

[Stamceller](#) er en kilde til stor begejstring for patienter, der lider af sygdomme forårsaget af celledød i kroppen - som Huntingtons Sygdom. Men det er mere kompliceret end som så at bruge disse kraftfulde celler til at hjælpe HS-patienter. Nu har to nye studier gjort det muligt for forskere at anvende avancerede [stamceller](#) som arbejdsredskab, og vist at det er muligt - i celler i en petriskål - at rette den mutation, der forårsager HS.

Lidt om stamcellebehandling

Alle mennesker starter som et enkelt befrugtet æg, der gentagne gange deler sig for at danne de cirka 50 trillioner celler der findes i et voksent menneske. Hver celle har sine egne egenskaber - muskelceller fungerer meget forskelligt fra hudceller, og så videre. De særlige egenskaber ved hver celletype bestemmer hvilke funktioner cellen kan udføre.

'Inducerede pluripotente stamceller' i grøn og rød, som gror ud fra hudceller der omgiver dem
Foto af: [PNAS](#)

I mange år mente forskere, at kun en meget speciel celletype - en såkaldt **stamcelle** - var i stand til at dele sig og give ophav til forskellige typer af celler i kroppen. Den mest indlysende kilde til disse celler var tidlige embryoner, idet det her er disse celler normalt findes. Men selvom disse 'embryonale [stamceller](#)' var meget anvendelige - de tillod fx forskerne at dyrke nye celler såsom hjerneceller i laboratoriet - var brugen af dem etisk og juridisk set problematisk, fordi det krævede destruktion af embryoner.

I 2006 blev alt hvad vi vidste om [stamceller](#) ændret, da Shinya Yamanaka opdagede, at **alle** voksne celler kunne

'omprogrammeres' til [stamceller](#). Pludselig var der ingen grund til at ødelægge embryoner for at skabe [stamceller](#) - vi kunne bare tage en lille hudprøve og omprogrammere cellerne i huden til at blive til [stamceller](#). Forskerne er blevet temmelig gode til, ud fra [stamceller](#), at danne neuroner, muskelceller og andre vigtige celletyper, der er beskadigede i forskellige sygdomme.

Disse omprogrammerede celler kaldes **inducerede pluripotente [stamceller](#)** eller **iPS-celler**.

Vores tidligere artikel om [stamceller](#) omhandlede det spændende og vanskelige ved stamcelleforskning indenfor Huntingtons Sygdom.

Stamceller fra HS-patienter

I en artikel, der netop er blevet udgivet i tidsskriftet med det lidt underlige navn 'Cell Stem Cell', lavede og studerede en gruppe forskere disse **inducerede pluripotente [stamceller](#)** fra HS-patienter. Forskerne var nysgerrige efter at se, om [stamceller](#) fra HS-patienter ville opføre sig anderledes end dem fra mennesker, der ikke bærer mutationen.

Forskergruppen så på, hvordan cellerne opførte sig i laboratoriet. Flere årtiers arbejde har antydnet, at celler fra HS-patienter er unormale, men ingen har nogensinde været i stand til at studere [stamceller](#) på dette detaljeniveau før, fordi de har været så vanskelige at skaffe.

Det viser sig, at de nye stamcellelinjer, skabt ved hjælp af prøver fra patienter med Huntingtons Sygdom, **ikke** opførte sig anderledes end [stamceller](#) fra folk uden HS. De væsentligste forskelle var, hvordan cellerne tændte og slukkede gener, og hvordan de fremstillede energi.

Disse cellulære symptomer svarer stort set til de observationer, forskerne har gjort i andre typer celler med mutationen, der giver Huntingtons Sygdom, hvilket tyder på, at disse nye [stamceller](#) vil være et rigtigt nyttigt værktøj til at forstå, hvordan mutationen ændrer cellers funktion på en måde, der i sidste ende fører til at de dør hos mennesker med HS.

Hvad er så pointen med dette? Hvad kan patienter med Huntingtons Sygdom forvente af disse nye cellelinjer? Det vigtigste HS-patient-stamcellerne kan bidrage med er, at de kan udgøre en **model** for forskere, der studerer sygdommen.

Forestil dig, at du er et medicinalfirma, der mener, at dit nye stof kan hjælpe celler, der har mutationen for Huntingtons Sygdom med at klare sig bedre og forblive raske længere. Nu, takket være disse nye [stamceller](#), kan du teste dit stof i hjerneceller fra ægte HS-patienter, snarere end i celler fra en mus eller en orm. Forhåbentlig vil dette give langt mere præcise resultater - og hjælpe os til kun at teste virkeligt effektive lægemidler i mennesker.

Celleudskiftning?

En drøm for mange forskere og mennesker, der lever med Huntingtons Sygdom, er, at vi en dag vil kunne erstatte tabte celler med nye - det ville give os mulighed for at standse, eller måske endda forbedre, symptomerne på degenerative sygdomme.

At dyrke nye celler til at erstatte de tabte i en sygdom kaldes **celleerstatningsterapi**, og det er en af grundene til al spændingen omkring [stamceller](#). Nogle forskere mener, at man ved at transplantere [stamceller](#) til de beskadigede dele af hjernen hos HS-patienter vil kunne erstatte de celler, der dør i løbet af sygdommen.

Men der er vigtige videnskabelige udfordringer der skal løses, før celleerstatningsterapi vil kunne fungere. Det første spørgsmål er, hvilke celler man gerne vil putte ind i folks hjerner? Naturligvis vil vi gerne erstatte de døende hjerneceller med flere hjerneceller, ikke hudceller eller muskelceller. Så hvor får vi flere hjerneceller fra, og hvordan kan vi sikre, at de 'matcher' patienten genetisk?

Det er her de nye "inducerede" [stamceller](#) kommer ind i billedet - for første gang nogensinde vil man teoretisk set kunne tage en hudprøve fra en HS-patient, omprogrammere cellerne til at blive til [stamceller](#) eller neuroner, og injicere disse [stamceller](#) i patientens egen hjerne. Hvis det virkede, ville det være en fantastisk mulighed, fordi cellerne ville matche patienten genetisk.

Overblik over processen med at lave iPS-celler fra hudceller. (1) Hudcellerne dyrkes i en petriskål og behandles (2) med gener nødvendige for at omprogrammere dem til stamceller. (3) Et lille antal af de behandlede celler tager imod beskeden om at blive inducerede pluripotente stamceller (4).

Nye eksperimenter med rotter antyder, at [stamceller](#) injiceret på denne måde kan danne nye hjerneceller, der lader til at integrere sig i hjernen og hjælpe rotter med at overvinde hjerneskade.

Korrigerende af HS-mutationen

Skarpsindige læsere har måske bemærket et problem her - den mutation, der forårsager HS, findes i hver eneste celle i vores krop, herunder vores hudceller og eventuelle [stamceller](#), vi laver af dem. Så selvom vi tackler de tekniske udfordringer ved at indføre [stamceller](#) i hjernen, så står vi stadig med nye neuroner, der har den samme mutation, som forårsager HS!

Den ideelle løsning på dette problem ville være, hvis vi kunne "fikse" [stamceller](#) fra HS-patienter ved at fjerne den mutation, der forårsager HS, mens cellerne gror i laboratoriet. Der er nogle helt nye teknikker til at gøre netop dette - vi har tidligere omtalt en metode, der kaldes **zinkfinger-nukleaser**. Men disse metoder er stadig nye, og sandsynligvis mange år væk fra at kunne anvendes i HS-patienter.

En gruppe forskere under ledelse af Lisa Ellerby ved Buck Institute for Research on Aging, har set på en anden tilgang til dette problem. At lave præcise ændringer i stamcellers gener, mens de vokser i en petriskål, er meget, meget lettere end at ændre på

levende menneskers DNA. Faktisk bliver den fremgangsmåde rutinemæssigt anvendt til fremstilling af genetisk modificerede mus, der bruges til at studere biologi og medicin i laboratorier verden over.

Ellerbys gruppe lavede et meget simpelt eksperiment - de gav [stamceller](#) fra en Huntingtons Sygdom-patient en smule ekstra DNA, der fortalte hvordan man laver et normalt, snarere end mutant, HS-gen.

Metodens effektivitet er meget ringe: ud af 5 millioner behandlede celler, lykkedes det kun for to celler at bruge det ekstra DNA til at lave den rigtige korrektion. Men ved at bruge en lysende markør til at mærke de celler, der rent faktisk foretog korrektionen, kunne de isoleres og dyrkes.

Dette enkle genetiske trick gjorde Ellerby og hendes gruppe i stand til at lave en forbløffende række sammenligninger. De kunne stille spørgsmål såsom hvad forskellen er mellem en celle med en HS-mutation, og den nøjagtig samme celle hvor mutationen er blevet korrigeret. Hendes hold så ligesom som stamcellekonsortiet, på flere årtiers arbejde med HS i celler, og undersøgte hvad der skete med HS-celler, som blev 'repareret'. Denne analyse viste, at nogle af abnormaliteterne i HS-celler kan korrigeres ved at reparere HS-mutationen.

Er problemet så løst?

Dette giver vigtige oplysninger til forskere som studerer Huntingtons Sygdom. Men det kan være lige så vigtigt for arbejdet med at løse problemet med behandling: hvordan får vi nye celler til at være egnede til at erstatte tabte celler i HS?

Nu hvor vi vender tilbage til dette problem, kan vi se, at det nu er muligt i teorien at omprogrammere hudceller fra en HS-patient i [stamceller](#). Disse [stamceller](#) kan derefter genetisk 'korrigeres', så den mutation, der forårsager HS, fjernes fra deres [genom](#). Implantation af disse genetisk modificerede celler ville i teorien tillade nye neuroner, fri for HS-mutationen, at vokse i patienters hjerner.

Her på HDBuzz er vi glade for de hastige fremskridt indenfor arbejdet med [stamceller](#), og mulighederne for HS-behandlinger. Men vi mener også, at udviklingen af disse bemærkelsesværdige metoder til brug ved behandling af HS vil være en meget lang og vanskelig proces - som nok i virkeligheden vil være meget sværere end at udvikle end traditionel medicin.

At indføre genetisk modificerede celler i hjernen på levende patienter er meget risikabelt, og skal udføres med stor forsigtighed. Der er sandsynligvis mange år med stadig mere avancerede laboratorieforsøg der venter, før denne behandlingsmetode vil kunne bruges i stor skala i mennesker.

Lige umiddelbart vil disse vigtige fremskridt indenfor iPS-celler dog sandsynligvis være meget nyttige redskaber til at forstå Huntingtons Sygdom og strømline udviklingen af nye lægemidler. I mellemtiden bevæger [stamceller](#) som behandlingsform sig langsomt gennem udviklingsprocessen for behandlinger til HS. Efterhånden som andre behandlingsformer med forventet kortere udviklingstider studeres, er det vigtigt at begynde udviklingen af disse mere tidskrævende, men meget lovende, teknologier.

Forfatterne har ingen interessekonflikter. [For mere information om vores offentliggørelsespraksis kig under FAQ...](#)



Få mere at vide

[Original artikel fra HS iPS-konsortiet i tidsskriftet Cell Stem Cell \(adgang til fuldtekst kræver betaling eller abonnement\)](#) [Original artikel af An, Ellerby og hendes kollegaer i Cell Stem Cell omkring korrektion af den genetiske defekt i HS-stamceller \(adgang til fuldtekst kræver betaling eller abonnement\)](#) [Vores oversigtsartikel om stamceller for HS-patienter](#) [Zinkfinger-nukleaser, en mulig måde at reparere DNA-mutationer på Stamcelle-neuroner: at lave de rigtige forbindelser](#)

Emner
[udvalgte cellemodel stamceller](#)

[Mere...](#)

Relaterede artikler

[Er et nyt "vidundermiddel" mod demens blevet opdaget? \(Spoiler alert: nej.\)](#)

17. maj 2017

[Huntingtin snupper en hammer: DNA-reparation i HS](#)

17. marts 2017

[Huntingtin på tur: skadelige proteiner overføres mellem hjerneceller](#)

4. juli 2016

[Forrige Næste](#)

- Ordliste
- **Stamceller** celler, der kan dele sig og blive til andre typer celler
- **Genom** betegnelse for alle de gener, som indeholder det komplette sæt instruktioner til at skabe en person eller anden organisme
- [Læs flere definitioner i ordlisten](#)

Forskningsnyheder om Huntingtons Sygdom

På hverdagsprog Skrevet af forskere.

Til det globale HS-fællesskab

HDBuzz

[Nyheder](#)

[Tidligere udvalgte](#)

[Om HDBuzz](#)

[HDBuzz finansieringspartnere](#)

[Hjemmesider med materiale fra HDBuzz](#)

[**new_to_research**](#)

Hvem er vi

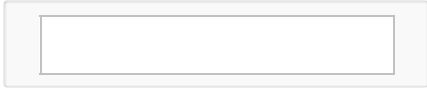
[**meet_the_team**](#)

[**help_us_translate**](#)

Følg HDBuzz

Meld dig til at modtage vores månedlige nyhedsbrev pr. email ved at angive din emailadresse nedenfor eller læs om mulighederne på vores [side med e-mail-liste](#)

Udfyld ikke denne boks Emailadresse



© HDBuzz 2011-2019. Indholdet på HDBuzz kan frit deles under en [Creative Commons License](#).

HDBuzz er ikke en kilde til lægefaglige råd. Se venligst vores [Brugerbetingelser](#) for alle detaljer.

© HDBuzz 2011-2019. 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 17. april 2019 — Downloaded fra <https://da.hdbuzz.net/088>

Noget af teksten på denne side er endnu ikke blevet oversat. Det vises derfor nedenfor på originalsproget. Vi arbejder på at oversætte alt materiale så hurtigt som muligt.