

## Universitetet i New Orleans har IKKE fundet en kur mod Huntingtons Sygdom

Forskningen bag en ekstraordinær pressemeddelelse, der påstår at have fundet 'en måde at forsinke HS symptomerne på'



Skrevet af Professor Ed Wild 10. maj 2013 Redigeret af Dr Jeff Carroll

Oversat af Majken Siersbæk Oprindeligt offentliggjort 28. januar 2013

I en nylig pressemeddelelse fra Universitetet i New Orleans (UNO) bliver det påstået, at forskere på deres universitet har opdaget en "måde at forsinke symptomerne for den dødelige Huntingtons Sygdom". Musik i ørerne for HS familiemedlemmer overalt. Men leverer forskningen hvad der bliver lovet? Det korte svar er, desværre, nej.

### Forskningen

Forskningen bag pressemeddelelsen fokuserer på proteinet **Rhes**. De sidste to bogstaver i dets navn står for 'Beriget i Striatum', fordi den del af hjernen hvor størstedelen af Rhes befinder sig kaldes **striatum**.



*løjenfladende forsknings-overskrifter lever måske, desværre, ikke helt op til deres løfter*

Tilfældigvis, er striatum også stedet hvor neuronerne dør tidligt ved Huntingtons Sygdom. Derfor, og fordi Rhes er involveret i at fortælle cellerne hvilke proteiner de skal skille sig af med, har Rhes tiltrukket sig meget interesse blandt forskere der forsøger at forstå HS og at udvikle behandlinger.

Tidligere forskning tyder på, at Rhes-proteinet sammen med det mutante huntingtin-protein måske er 'medskyldig' i at skade neuronerne. Billedet var dog ikke klart, eftersom andre undersøgelser tyder på, at Rhes måske har nogle beskyttende effekter. Så Rhes forbliver lidt af en gåde.

Forskere på UNO, ledet af Dr Gerald LaHoste, har ved hjælp af genetisk manipulation og kryds-avl produceret nogle specielle mus. De ønskede at undersøge om mus, der danner det skadelige mutante huntingtin-protein klarer sig bedre eller dårligere, hvis de **også** danner mindre end den normale mængde Rhes.

'HS musene' med nedsat mængde Rhes blev avlet succesfuldt og observeret i seks måneder via en række tests. Musene blev stadigvæk syge og udviklede bevægelsesproblemer, men det gik langsommere end hos 'HS mus', der producerede normal mængde Rhes. Denne forskel udgjorde en forskel på omkring to måneders.

Denne langsommere udvikling af bevægelsessymptomerne hos mus er opmuntrende, men er ikke hele historien. Ligesom HS patienter, så skrumper hjernerne på disse 'HS mus'. Det viser sig, at hvis man giver musene Rhes-mangel, så medfører det i sig selv **også** skrumpning af hjernen. Det er selvsagt klart, at skrumpning af hjernen ikke er noget man ønsker som bivirkning i HS-behandlingen.

Dette er måske en opmuntrende begyndelse på en lang rejse, men mængden af arbejde for at komme fra forsøg med genetisk manipulation som dette til at hjælpe mennesker er enorm og vil tage mange år, og indeholder en potentiel fare for fiasko på hvert trin, specielt i overgangen fra mus til menneske.

Der kan være mange grunde til hvorfor resultaterne i dyr ofte ikke kan overføres til patienter. Her er det værd at bemærke, at musene i dette forsøg kun producerer små fragmenter af huntingtin proteinet, hvilket gør det til en mindre præcis model for human HS i forhold til andre mus, der kunne være brugt. Og den rapporterede 16% forsinkelse i symptomer, selvom det er bedre end ingenting, er helt sikkert ikke den største forbedring set med genetisk manipulation.

## Pressemeddelelsen

Pressemeddelelser er et tveægget sværd. Det er en effektiv måde at få udbredt nyheden omkring forskningsgennembrud. Men ofte bliver de skrevet på en måde, der fanger interesse, men samtidig opreklamerer de publicerede forskningsmæssige fund.

For at sige det pænt, vi har store forbehold for den pressemeddelelse som UNO valgte at benytte til at annoncere dette arbejde. Den indeholder et antal påstande, der kan øge folks håb for fremskridt, der sandsynligvis ikke kan leveres.

Der kan være mange grundet til at man valgte at gøre det på denne måde, og for at gøre det helt klart så siger vi ikke, at nogen bevidst har forsøgt at vildlede folk. Men at 'oversælge' er noget som forskere og universiteter skal beskytte sig imod.

# “Forsinke HS symptomer”

»Denne pressemeddelelse er et slående eksempel på hvordan tankeløs rapportering kan puste forventningerne unødigt op. «

For at begynde ved begyndelsen, overskriften påstår, at forskerne har opdaget en “måde at forsinke symptomerne af den dødelige Huntingtons Sygdom”.

Vi ved nu, at det de egentlig fandt er en kunstig genetisk manipulation, der gør mus mindre modtagelige for effekterne af HS-mutationen, men de har også skrumpe-hjerner. Selvom det er sandt, at symptomerne blev forsinket så får mus ikke **Huntingtons Sygdom**. Alle forskere ved dette så alle, der frigiver en pressemeddelelse indenfor HS-feltet skal undgå at lave overskrifter, der kunne fejlagtigt kunne fejlfortolket som den ‘kur’ vi alle håber at kunne vågne op og læse om.

Betyder en lille smule kreativ overskrift-skriveri virkelig noget? *Ja* - og her kommer forklaringen på hvorfor.

For at få nye HS-lægemidler ud til patienter, har vi brug for lægemiddelforsøg, som normalt kræver hundredvis af frivillige patienter, taget fra en gruppe af mennesker der kæmper for at leve et normalt liv. Huntingtons Sygdom er ret sjælden, og på nuværende tidspunkt vælger kun ca 20% af risikopersonerne at blive testet. Så, gruppen af frivillige, der fysisk kan hjælpe os med at udvikle lægemidler er meget lille, og vi sætter vores lid til folks gode vilje og tro på det videnskabelige samfund.

Hver gang nogen læser en overskrift, der opreklamerer gode nyheder for HS-familier, og efterfølgende bliver skuffede når forskningen ikke kan levere hvad overskriften lovede, er der en risiko for, at vi mister frivillige - og dermed skubbes tilblivelsen af en effektiv behandling en lille smule længere væk. Det ville være en tragedie, og det er én, der nemt kan undgås ved at opføre sig ansvarligt ved offentligt engagement.

## “Den første behandling?”

Dernæst, artiklens ledende forfatter, Dr LaHoste, siger, at “Jeg tror, at disse fund er vigtige fordi de måske vil føre til udviklingen af den første behandling for denne forfærdelige sygdom.” Men Rhes-signaleringsvejen er forholdsvis ny på listen over mål for udvikling af lægemidler mod Huntingtons Sygdom, men det tager måske årevis at bygge bro over kløften mellem genetisk at manipulere et mål som LaHostes hold gjorde her, og at producere en pille som patienten kan tage.

Så LaHostes udtalelse kan meget vel over-estimere potentialet af dette arbejde. Men samtidig så **under-estimeres** de fremskridt i udviklingen af lægemidler, der gøres af det globale HS-forskningssamfund.

Rent faktisk er eksperimentelle behandlinger som det at slukke for huntingtingenet så fremskreden, at vi forventer at humane forsøg på HS-patienter påbegyndes indenfor det næste års tid - dette er behandlinger som vi har større håb til vil virke end vi nogensinde har haft før.

Så, selvom det teoretisk er muligt, at lægemidler, der har Rhes som mål kan blive den første behandling, der forsinker HS, er der mange andre tilgange, der er tættere på succes.

## Hvorfor er statiner med?

Ét udsagn i pressemeddelelsen er særligt problematisk. Der står, "Baseret på deres fund mener de, at en gruppe af kolesterol-sænkende lægemidler, kaldet statiner, i høj grad kan sænke symptomerne på Huntingtons Sygdom i mennesker." Det, der er mærkeligt her er, at hverken kolesterol eller statiner er nævnt i den aktuelle forskningsartikel. Desuden kender vi ikke til nogen sammenhæng mellem Rhes og statiner.



*Vores artikel 'ti gyldne regler for at læse en forskningsmæssig nyhedshistorie' har til formål at beskytte dig imod skuffelse over opreklamerede pressemeddelelser.*

Så dette udsagn forekommer ikke er være retfærdiggjort af det reapporterede forskningsmæssige arbejde, og kan potentielt skabe stor forvirring hos patienter og familiemedlemmer. For at gøre det klart, der er **intet** bevis på, at det at indtage statinlægemidler kan hjælpe mod HS, hverken fra forsøg lavet i dyr, mennesker eller noget andet.

## Mus er ikke mennesker!

En lille smule længere nede, falder pressemeddelelsen i en almindelig fælde. Ved rapportering af forsinkelsen i påbegyndelsen af symptomer i de genetisk ændrede mus, står der, "Relativt til levetiden for disse mus, kan forsinkelsen overføres til at være omkring fem år i mennesker."

Efter vores mening, er dette en meget uklog at indikere. Selv LaHostes originale forskningsartikel er varsom omkring at "det er svært at sammenligne levetid mellem arter" og alle, der følger HS-forskning ved, at **ingen** af de lægemidler, der indtil videre har vist sig

at hjælpe i HS musemodeller har vist sig at have gavnlige effekt i humane patienter.

At forudsige hvilken gavn noget har i mennesker ud fra forskning i mus - specielt når det gøres så specifikt som her så risikerer man at skabe falsk håb, efterfulgt af stor skuffelse.

## Hvad kan vi lære af dette?

Alt i alt, det vi har med at gøre her er et relativt simpelt studie, der rapporterer en moderat effekt af genetisk at manipulere HS modelmus, samtidig med at man ser en potentielt bekymrende bivirkning. Det skaber grobund for yderligere forskning af Rhes i Huntingtons Sygdom, men det er langt fra at have direkte betydning for HS-patienter. Arbejdet med Rhes-signaleringsvejen fortsættes i adskillige laboratorier og hvis der er noget større gennembrud, skal vi nok fortælle dig om det.

Men pressemeddelelsen, der fulgte med publicering af artiklen er et tydeligt eksempel på hvordan - selvom ingen involverede mente noget ondt med det - forventninger kan blive pustet op fordi resultaterne opreklames, og dermed risikerer man at skade vores anstrengelser for at involvere HS familiemedlemmer i at flytte forskningen i HS fremad.

Vigtigst af alt, vi ønsker at forskere og mediefolk skal udvise forsigtighed og ansvarlighed når de forbereder sådanne offentlige pressemeddelelser. Vi forsøgte at få en kommentar fra UNOs kommunikationskontor, men de reagerede ikke på vores henvendelse.

For at hjælpe dig med selv at skelne reelt håb fra opreklamering når du læser pressemeddelelser i fremtiden, kig på vores artikel med 'ti gyldne regler for at læse en forskningsmæssig nyhedshistorie'.

---

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

---

### ORDLISTE

**Huntingtin-protein** proteinet, der dannes af HS-genet.

**Effekt** et mål for om en behandling virker eller ej

---

© HDBuzz 2011-2020. 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](https://hdbuzz.net)

Dannet 6. november 2020 — Downloaded fra <https://da.hdbuzz.net/114>

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.