

Lad os se igennem mediernes spin: Resultater fra et klinisk studie af cysteamin

Inkonklusive resultater fra et fase 2/3 klinisk studie for Huntington lægemidlet cysteamin.

Skrevet af Melissa Christianson 10. januar 2017 Redigeret af Dr Jeff Carroll

Oversat af Majken Siersbæk Oprindeligt offentliggjort 18. december 2015

Tidligt i december måned, frigav 'Raptor Pharmaceuticals' resultaterne fra et klinisk studie der undersøgte et lægemiddel, kaldet cysteamin, til behandling af Huntingtons Sygdom (HS). Ved at frigive nyhedsoverskrifter om studiet har medierne har haft travlt med at udføre deres spin, så nu vil HDBuzz fortælle, hvad disse nye resultater rent faktisk betyder for HS-fællesskabet.

Kliniske studier og granatæbler?

Selvom det måske umiddelbart ikke er tydeligt, så har kliniske studier og granatæbler noget til fælles. Ligesom det kræver forsigtig udskæring og omhyggelighed at adskille granatæblets saftige kerner fra dets skal og membraner, kræver det omhyggelig sortering at nå til ind til kernen i kliniske studier ud fra nyhedsdækninger.



Ligesom det kræver forsigtig udskæring og omhyggelig adskillelse af granatæblets saftige kerner fra skal og hinder, kræver det at nå til ind til kernen i kliniske studier omhyggelig

sortering af nyhedsdækningen.

Foto af: [Freemages](#)

Begge opgaver kan være komplicerede, men bare rolig! HDBuzz er her for at hjælpe dig med at sortere i vildledende overskrifter, finde fakta og forstå hvad resultaterne af de kliniske forsøg betyder for HS-fællesskabet.

Vi har allerede skrevet adskillige generelle guides [hvad er kliniske studier](#) og [hvordan man fortolker nyhedernes dækning af dem](#). Når du vil begynde at læse om et specifikt klinisk studie, er det vigtigste at huske hvorfor studiet overhovedet bliver udført: **For at undersøge om lægemidlet kan hjælpe patienter med HS.**

I denne artikel vil vi holde dette perspektiv for øje, når vi dækker de hotte resultater fra et nyligt afsluttet klinisk studie i HS-patienter.

En smule baggrund

De resultater vi beskriver her, kommer fra et fase 2/3 klinisk studie udført af "Raptor Pharmaceuticals". I studiet testede de lægemidlet cysteamin, der allerede har overstået nogle tidlige udfordringer i godkendelsesprocessen, som en symptom-forsinkende behandling af HS. HDBuzz har fulgt dette studie siden det begyndte, og vi har skrevet om det basale i en [tidligere artikel](#).

Vi ved fra laboratorieundersøgelser, at cysteamin - også kendt som RP103 - gør en masse gode ting i hjernen. Det kan stoppe klistrende proteiner i at lave rod i hjernen, øge reparationen af hjernens celler, øge niveauet af et kemikalie, der holder hjernecellerne sunde, og fjerne overskudsmetaller, som er giftige for hjernen. I teorien kan hver enkelt (eller alle) af disse effekter forsinke udviklingen af symptomerne for HS i mennesker.

Grundet studiets længde, udførte Raptor Pharmaceuticals det i to dele. Under den første del af studiet, blev deltagerne tilfældigt udvalgt til at tage enten cysteamin eller et placebo-lægemiddel to gange om dagen. Under anden del af studiet skulle alle, der havde taget placebo-lægemidlet under den første del, nu tage cysteamin (og de, der i første del havde taget cysteamin fortsatte). Dette sikrede, at alle deltagerne i studiet ville få gavn af lægemidlets gavnlige effekter, hvis det altså de eksisterede.

Som i mange andre kliniske HS-studier, stillede "Raptor Pharmaceuticals" en række spørgsmål om og hvordan lægemidlet påvirkede HS-symptomerne. Det vigtigste af disse spørgsmål, kaldes det **primære formål** og fungerer som målestok for hvorvidt studiet var en succes eller ej. Det primære spørgsmål i dette studie var, om indtagelse af cysteamin forsinkede udviklingen af de bevægelsessymptomer, der typisk forekommer ved Huntingtons Sygdom. Studiet skulle også vurdere, om cysteamin påvirkede andre ting, såsom generelt funktionsniveau, uafhængighed og sikkerhed.

De endelige resultater ramte forbi målet



Desværre opfyldte studiet fra "Raptor Pharmaceuticals" ikke det primære formål.

Foto af: [Freemages](#)

CYST-HS-studiet er nu færdigt og de sidste resultater er i hus. Tidligt i december frigav "Raptor Pharmaceuticals" en pressemeddelelse, der gav et smugkig på resultaterne.

For alle kliniske studier gælder det, at de vigtigste resultater er dem, der er relateret til det primære formål. Husk, at det, der i sidste ende afgør, om et studie er en succes eller en fiasko og om lægemidlet kan godkendes til HS-behandling af FDA ("Food and Drug Administration") er, om det primære formål er opfyldt.

Desværre opfyldte CYST-HS studiet ikke det primære formål. Selvom bevægelsessymptomer hos personer, der tog cysteamin, havde en tendens til at udvikle sig langsommere end hos personer, der tog placebo, så var effekten ikke stor nok eller konsekvent nok til at være *statistisk signifikant* (mere om dette senere).

Ydermere, selvom lægemidlets effekt på bevægelsesyntomerne var mere udtalte, når "Raptor Pharmaceuticals" kiggede på en specifik patientgruppe, så var det stadig ikke statistisk signifikant.

Ikke desto mindre tyder disse resultater, i kombination med andre undersøgelser i studiet, der kigger på generelt funktionsniveau og uafhængighed, på, at cysteamin svagt påvirker

HS på en måde, som ikke opfanges af studiets primære analyser.

Betyder statistisk signifikans virkelig noget?

For at finde en mening i hvad denne pose med blandede resultater betyder for HS-fællesskabet er det vigtigt at holde sig perspektivet for øje: at **vi udfører kliniske studier for at undersøge om et lægemiddel forbedrer HS-symptomer.**

Alle - forskere, lægemiddelfirmaer og specielt patient-fællesskabet - vil virkelig gerne finde lægemidler, der gør en forskel for patienter med HS. Desværre kan sådan et ønske øge risikoen for at se forskelle, der ikke findes i virkeligheden, eller hvad værre er, at man sætter sin lid til et lægemiddel, der ikke virker.

Statistik hjælper med at nedtone disse ricisi ved at fortælle os om vi kan stole på resultaterne fra et klinisk studie, eller om der er risiko for at det er et resultat af tilfældigheder.



Bevæbnet med viden fra CYST-HS studiet tror "Raptor Pharmaceuticals", at de har lært nok til at designe et nyt studie med større chance for succes.

Foto af: [Freelimages](#)

Når vi siger, at resultaterne fra "Raptor Pharmaceuticals" CYST-HS-studie ikke er statistisk signifikante, er det en meget vigtig udtalelse. Det betyder, at effekten af lægemidlet i studiet nemt kan skyldes tilfældigheder. Matematisk talt, påvirker cysteamin ikke HS-

symptomerne anderledes end et placebo-lægemiddel. Derfor, selv efter dette 3 år lange studie, **har vi endnu ikke bevis for, at cysteamin forbedrer HS-symptomerne.**

Hvordan fortsætter vi

Selvom studiet fra “Raptor Pharmaceuticals” ikke opfyldte det primære formål, kan vi stadig tage to interessante og potentielt vigtige brikker af information med videre.

For det første gav studiet os spredte hints om, at cysteamin måske svagt forsinker nogle HS-symptomer i nogle individer. Derfor kan vi muligvis stadigvæk drage nytte af disse effekter - muligvis ved at undersøge en lidt anden patientgruppe eller ved at stille andre spørgsmål om hvordan lægemidlet påvirker HS-symptomerne. For det andet bekræftede studiet, at cysteamin har en ret god sikkerhedsprofil i patienter med HS, hvilket betyder, at de ikke medfører slemme bivirkninger hos de mennesker, der indtager det.

Bevæbnet med denne viden mener “Raptor Pharmaceuticals” at have lært nok til at designe et nyt registreringsstudie af cysteamin med en større mulighed for succes (dvs. et studie hvor cysteamin hæmmer symptomudviklingen mere end et placebo lægemiddel).

Vi kan ikke spå om fremtiden, så vi ved ikke hvordan et sådant studie vil spænde af. Dog ved vi, at vejen for cysteamin bliver hård. Andre HS-lægemiddelkandidater, såsom kreatin og CoQ10, der har fejlet i vigtige kliniske studier, ikke har klaret det godt i yderligere kliniske undersøgelser. Vi dæmper derfor begejstringen om et nyt cysteamin-studie med en afmålt dosis forsigtighed.

Take-home message

Selvfølgelig er vi skuffede over, at resultaterne fra CYST-HS studiet ikke var mere positive, men det er vigtigt at huske, at alle kliniske HS-studier - selv de der fejler - giver os viden og erfaring, der kan gøre fremtidige studier bedre. Hvis man kigger forbi virvaret i medierne og prøver at forstå hvad resultaterne af de kliniske forsøg virkelig betyder, vil det virkelig hjælpe os mod en effektiv behandling af HS.

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

ORDLISTE

Statistisk signifikant Usandsynligt at være opstået ved et tilfælde ifølge statistisk test

Placebo placebo er et snyde-lægemiddel, der ikke indeholder nogen aktive stoffer.

Placebo-effekten er en psykologisk effekt, der får folk til at have det bedre, selvom de tager en pille, der ikke virker.

Effekt et mål for om en behandling virker eller ej

© HDBuzz 2011-2022. 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. januar 2022 — Downloaded fra <https://da.hdbuzz.net/209>

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.