HDBuzz

Wetenschappelijk nieuws over de Ziekte van Huntington. In eenvoudige taal. Geschreven door wetenschappers. Voor de hele ZvH gemeenschap.

De Universiteit van New Orleans heeft GEEN genezing voor de ziekte van Huntington ontdekt

De wetenschap achter uitzonderlijk persbericht claimend 'Een manier om ZvH-symptomen te vertragen' te hebben ontdekt

Geschreven door Dr Ed Wild op 4 februari 2013
Bewerkt door Dr Jeff Carroll; Vertaald door Hans van der Leer
Origineel gepubliceerd op 28 januari 2013

Een recent persbericht van de Universiteit van New Orleans (UNO) beweert dat haar wetenschappers een "manier gevonden hebben om de symptomen van de dodelijke ziekte van Huntington te vertragen". Dit klinkt als muziek in de oren bij ZvH-families over de hele wereld. Maar maakt de wetenschap deze hype waar? Het korte antwoord is, helaas, nee.

De wetenschap

De wetenschap achter het persbericht richt zich op het eiwit **Rhes**. De laatste twee letters van deze naam staan voor 'verrijkt in het stratium', omdat het gedeelte van de hersenen waarin Rhes is gevonden het **stratium** heet.

Het is toevallig dat het stratium ook het gedeelte van het brein is waar de hersencellen afsterven als de ZvH begint. Om die reden, en omdat het betrokken is bij het instrueren van welke eiwitten door de cellen verwijderd worden, heeft Rhes de aandacht getrokken van wetenschappers die de ZvH proberen te begrijpen en behandelingen tegen de ziekte proberen te ontwikkelen.

Enkele eerdere onderzoeken hebben gesuggereerd dat het Rhes eiwit een 'medeplichtige' is van het gemuteerde Huntingtine eiwit, betrokken bij het beschadigen van hersencellen. Dit beeld was echter niet duidelijk, aan gezien anderen hebben ontdekt dat het mogelijk ook een beschermende werking heeft. Daarom blijft Rhes een raadsel.

Blikvangende wetenschappelijke krantenkoppen kunnen hun beloftes niet waar maken

Onder leiding van Dr Gerald Lahoste hebben wetenschappers van de Universiteit van New Orleans (UNO) door middel van genetische manipulatie en kruisingen een speciaal soort muis ontwikkeld. Ze wilden hiermee onderzoeken of muizen met het schadelijke gemuteerde Huntingtine eiwit het beter of slechter zouden doen, wanneer zij **ook** minder dan de normale hoeveelheid Rhes zouden aanmaken.

De 'ZvH-muizen' met een gebrek aan Rhes werden succesvol gefokt en gedurende zes maanden geobserveerd tijdens een reeks van testen. Deze muizen werden alsnog ziek en ontwikkelden bewegingsproblemen, maar dit proces was trager dan bij de 'ZvH-muizen' die een normale hoeveelheid Rhes aanmaakten. Het verschil representateerde ongeveer twee maanden aan achteruitgang.

Deze verbetering in de bewegingssymptomen van de muizen is bemoedigend, maar was niet het hele verhaal. Net zoals bij ZvH-patiënten, krompen ook de hersenen van deze 'ZvH-muizen'. Er is namelijk gebleken dat het maken van Rhes-arme muizen op zichzelf **ook** hersenkrimping veroorzaakt. En uiteraard is hersenkrimping niet een bijwerking die we willen zien bij een behandeling tegen de ZvH.

Dit lijkt misschien een veelbelovende start van een lang proces, maar de hoeveelheid werk dat vereist is om van een genetisch manipulatie-experiment als dit, naar een medicijn dat ook ZvH mensen helpt te komen

is enorm, en neemt vele jaren in beslag. Bovendien is er bij elke stap de kans op falen, voornamelijk wanneer de sprong van muizen naar mensen wordt gemaakt.

Er zijn veel redenen waarom resultaten bij dieren vaak niet gezien worden bij patiënten. In dit geval is het belangrijk om te vermelden dat de muizen in dit onderzoek maar een klein fragment van het Huntingtine eiwit produceerden, wat ze een minder nauwkeurig model maakt ten opzichte van de de menselijke vorm van de ZvH dan dat andere ZVH-muizen die ook gebruikt hadden kunnen worden. Tevens is de 16% vertraging in symptomen waar over werd gesproken, ondanks dat het beter is dan niets, zeker niet de grootste verbetering ooit gezien bij experimenten met genetische manipulatie.

Het persbericht

Persberichten werken twee kanten op. Enerzijds is het een nuttige manier om mensen te informeren over wetenschappelijke doorbraken. Anderzijds zijn ze veelal op een dergelijke manier geschreven dat ze de aandacht trekken maar daardoor de gepubliceerde wetenschappelijke bevindingen overhypen.

Op zijn zachtst gezegd hebben we sterke bedenkingen bij het persbericht waarmee UNO besloot om dit werk wereldkundig te maken. Het bevatte verscheidene beweringen die mensen hoop kunnen geven op toekomstige vooruitgang, wat in alle waarschijnlijkheid niet waargemaakt kan worden.

Er kunnen hier veel redenen voor zijn en, voor alle duidelijkheid, we willen niet zeggen dat iemand er opzettelijk op uit was om te misleiden. Maar het ‘overdreven aanprijzen’ is iets waar wetenschappers en universiteiten voor moeten waken.

“Het vertragen van ZvH-symptomen”

Beginnend bij de kop van het artikel; de titel beweert dat wetenschappers “een manier om de symptomen van de dodelijke ziekte van Huntington te vertragen” hebben ontdekt.

> “Dit persbericht is een treffend voorbeeld van hoe onbezonnen schrijven, verwachtingen kan opblazen”

Wat we nu weten is dat het gaat om een kunstmatige genetische manipulatie die er voor zorgt dat de muizen minder vatbaar zijn voor de effecten van de ZvH-mutatie, maar dat deze muizen alsnog gekrompen hersenen hadden. Ondanks dat het waar is dat de symptomen werden vertraagd, **krijgen muizen niet de ziekte van Huntington**. Alle wetenschappers weten dit, dus iemand die persberichten publiceert in het ZvH-veld moet voorkomen dat zij een krantenkop maken die verward zou kunnen worden met de aankondiging van de ‘genezing’ waar iedereen op zit te wachten.

Maakt het schrijven van een beetje creatieve krantenkop echt uit? *Ja* - en hier is waarom.

Om nieuwe ZvH-medicijnen bij patiënten te krijgen hebben we klinische testen nodig, die doorgaans honderden vrijwilligers vereisen die gevonden moeten worden in een bevolking van mensen die proberen om een normaal leven te leiden. De ZvH is vrij zeldzaam, en momenteel kiest maar ongeveer 20% van de mensen met een risico op de ZvH ervoor om zich te laten testen. De hoeveelheid potentiële vrijwilligers die ons fysiek gezien kunnen helpen om medicijnen te ontwikkelen is dus erg klein, waarbij we we rekenen op de welwillendheid van mensen en hun vertrouwen in de wetenschappelijke wereld.

Wanneer iemand een krantenkop leest die goed nieuws beloofd voor ZvH-families, en vervolgens teleurgesteld wordt wanneer de wetenschap er niet in slaagt om de krantenkop waar te maken, bestaat er een kans dat we een vrijwilliger kwijtraken. Hierdoor kan het weer net iets langer duren

voordat we succesvolle behandelingen kunnen vinden. Dat is een absolute tragedie, en zou gemakkelijk voorkomen kunnen worden door verantwoorde maatschappelijke betrokkenheid.

“De eerste behandeling?”

Vervolgens zegt Dr. Lahoste, de voornaamste auteur van het artikel “Ik geloof dat deze bevindingen belangrijk zijn omdat, omdat zij kunnen leiden tot de ontwikkeling van de eerste behandeling voor deze verschrikkelijke ziekte.” Echter is de Rhes route relatief nieuw op de lijst van doelen met betrekking tot medicijnontwikkelijng voor de ZvH, en de kloof tussen het genetisch manipuleren van een doelwit zoals LaHoste’s team hier deed, en het innemen van een pil door patiënten, duurt vele jaren om te overbruggen.

Zodoende zou LaHoste’s verklaring zeer zeker de potentie van dit werk overschatten. Tegelijkertijd **onderschat** het de voortgang van de medicijnontwikkeling gemaakt door de globale ZvH-onderzoeksgemeenschap.

Het feit wil dat experimentele behandelingen - zoals het uitschakelen van het huntingtine gen - zo vergevorderd zijn, dat we verwachten dat menselijke testen bij ZvH-patiënten ergens volgend jaar zullen beginnen - Dit zijn de meest hoopvolle behandelingen tot nu toe.

Dus ondanks dat het theoretisch gezien mogelijk is dat de op Rhes-gerichte medicijnen de eerste behandelingen kunnen zijn om de ZvH te vertragen zijn er tal van andere benaderingen die dichter bij een kans van slagen liggen.

Waarom worden statinen benoemd?

Één verklaring in het persbericht is met name vooral verbijsterend. Het stelt: “op basis van hun bevindingen geloven zij dat een categorie van cholesterol-verlagende medicijnen, genaamd statinen, de symptomen van de ZvH bij mensen aanzienlijk zouden kunnen vertragen.” Wat hier raar

aan is, is dat er nergens in het artikel gesproken wordt over cholesterol, noch over statinen. Bovendien weten we niets van een relatie tussen Rhes en statinen.

Deze verklaring lijkt dus niet gerechtvaardigd te worden door het wetenschappelijke werk waar over bericht wordt, en heeft de potentie om een hoop verwarring te veroorzaken bij patiënten en familieleden. Voor alle duidelijkheid, onderzoek bij dieren, mensen of wat dan ook levert **geen** bewijs dat het nemen van statinen nuttig zou zijn voor de ZvH.

Ons artikel ‘tien gouden regels om wetenschappelijk nieuws te lezen’ is er op gericht je te beschermen tegen teleurstelling van over-gehypte persartikelen.

Muizen zijn geen mensen!

Iets verder in het artikel maakt het persbericht een veelvoorkomende fout. In hun verslag over het vertraagde begin van symptomen van symptomen bij de genetisch gemanipuleerde muizen, staat er: “Gezien de levensduur van muizen vertaalt deze vertraging zich naar ongeveer vijf jaar bij mensen.”

Wij zijn van mening dat het erg onverstandig is om iets dergelijkse te suggereren Zelfs LaHoste’s oorspronkelijke wetenschappelijke artikel waarschuwt er voor dat “het moeilijk is om de levensduur van verschillende (dier)soorten te vergelijken”, Bovendien weet iedereen die het ZvH-onderzoek volgt, dat tot nu toe alle medicijnen met een positieve werking bij ZvH-muismodellen, dit effect niet lieten zien bij patiënten.

Het voorspellen van de voordelen voor mensen aan de hand van onderzoek bij muizen - vooral in zulke specifieke termen - heeft als risico dat het valse hoop creëert, gevolgd door een wezenlijke teleurstelling.

Wat kunnen we hier van leren?

Al met al is wat we hier hebben een relatief eenvoudige studie die verslag doet over een bescheiden voordeel van een genetisch gemanipuleerd muismodel, waar bovendien nog een potentieel zorgelijke bijwerking aan verbonden is. Het biedt enige steun voor het voortzetten van de studie naar Rhes binnen de ZvH, maar het staat ver van daadwerkelijk heilzaam zijn voor ZvH-patiënten. In verschillende laboratotia wordt er nog steeds gewerkt aan de Rhes-insteek en wanneer er een grote doorbraak gemaakt wordt, laten we het u weten.

Het persbericht dat de publicatie van het artikel vergezelde was echter een treffend voorbeeld van hoe - zelfs als niemand kwade bedoelingen heeft - verwachtingen opgeblazen kunnen worden tot een hype, met het risico om schadelijk te zijn voor onze inspanningen om het onderzoek te bevorderen door het betrekken van ZvH-familieleden.

Bovenal dringen we bij wetenschappers en media-professionals aan op aan voorzichtig- en verantwoordelijkheid wanneer zij een persbericht voorbereiden voor het publiek. De afdeling communicatie van de UNO heeft niet gereageerd op ons verzoek tot reactie op deze publicatie.

Om u te helpen onderscheid te maken tussen hoop en hype wanneer u toekomstige persberichten leest wijzen wij u graag op ons artikel ‘Tien gouden regels voor het lezen van een wetenschappelijk artikel’.

De auteurs hebben geen belangenconflicten te verklaren. Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangensconflicten, zie FAQ…

Geschiedenis van het artikel

4 februari 2013

Eerst gepubliceerd

4 februari 2013

Kleine veranderingen

Verklarende woordenlijst

huntingtine eiwit Eiwit dat geproduceerd wordt door het huntington gen.

Rhes een eiwit dat in de beschadigde hersen regio's gevonden wordt in de vroege aanvang van de ZvH

© HDBuzz 2011-2015. De inhoud van HDBuzz mag vrij gedeeld worden met anderen, onder de Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz is geen bron van medisch advies. Voor meer informatie ga naar hdbuzz.net

Gegenereerd op 24 oktober 2015 — Gedownload van http://nl.hdbuzz.net/114