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

Hoe NIET een nieuwsbericht te schrijven over een klinische studie

Rommelig verhaal over klinische studie van huntingtine verlaging gepubliceerd, maar toffe nieuwe dingen gebeuren!

Geschreven door Dr Jeff Carroll op 31 mei 2016
Vertaald door Melvin Evers; Bewerkt door Dr Tamara Maiuri
Origineel gepubliceerd op 10 maart 2016

Een recent artikel in de Engelse krant the Daily Telegraph heeft ZvH families erg enthousiast gemaakt. De titel, "Begin klinische studie met eerste medicijn dat de Ziekte van Huntington tegengaat", klinkt ook zeker spannend! Maar wat is er echt aan de hand? HDBuzz is er om ons te helpen hoop van hype te onderscheiden in de wereld van huntingtine verlaging.

De typfout die de wereld overgaat

De Engelse krant the Daily Telegraph heeft recent een artikel geplaatst getiteld: "Begin klinische studie met eerste medicijn dat de Ziekte van Huntingdon tegengaat". Het eerste teken dat een artikel over de ZvH wellicht niet erg goed vooronderzocht is betreft het feit dat ze *de Ziekte van Huntington* verkeerd geschreven hebben als de *Ziekte van Huntingdon*!

De auteurs van het artikel hebben ogenschijnlijk ook een tijdmachine, omdat ze berichten dat het onderzoek wat ze beschrijven: "gepresenteerd was tijdens de American Academy of Neurology's 68th Annual Meeting in

The Telegraph

Een bij elkaar geraapt

Vancouver, Canada, 15 tot 21 april, 2016". Gezien het feit dat het artikel al op 26 februari 2016 gepubliceerd is, is dit een knap trucje!

nieuwsbericht over de ZvH in the Daily Telegraph heeft families wellicht afgeleid van een erg spannende ontwikkeling.

Wat wordt er in het artikel echt beschreven?

Wat is nu het echte nieuws achter dit warrige nieuwsbericht? De klinische studie die hier beschreven is betreft het testen of *huntingtine verlaging* met behulp van *antisense oligonucleotiden* (of ASOs) veilig en effectief is voor de ZvH. Als dit bekend in de oren klinkt, dan komt dit omdat je hier waarschijnlijk eerder over gelezen hebt, hier, op 19 oktober 2015: http://nl.hdbuzz.net/204.

In het kort, een bedrijf genaamd Ionis, eerder bekend als Isis, heeft een medicijn ontwikkeld dat de hoeveelheid schadelijk huntingtine in de cellen verlaagd. In samenwerking met het farmaceutisch bedrijf Roche en een mondiaal team artsen, test men of dit medicijn veilig is in ZvH patienten in een vroeg stadium. Natuurlijk hopen we dat dit medicijn niet alleen veilig is, maar ook de symptomen verbetert en zelfs de progressie van de ZvH vertraagt, maar dat antwoord zal uit toekomstige klinische studies moeten komen.

Ionis heeft in het verleden aangetoond dat ASO medicijnen ZvH modelmuizen veel gezonder lijken te maken. Dit is erg tof, maar is zeker nog geen bewijs dat deze medicijnen de "ZvH kunnen omkeren", zoals beweerd in het artikel. Neem het maar aan van iemand die al meer dan 10 jaar onderzoek doet met ZvH muizen - **alleen mensen hebben de ZvH**! De resultaten met het medicijn van Ionis in het laboratorium met ZvH

> "Terwijl de klinische studie die in the Daily Telegraph beschreven is al bekend is bij HDBuzz lezers, heeft het onderzoeksveld een grote doorbraak gehad waar je wellicht nog niet over gehoord hebt.

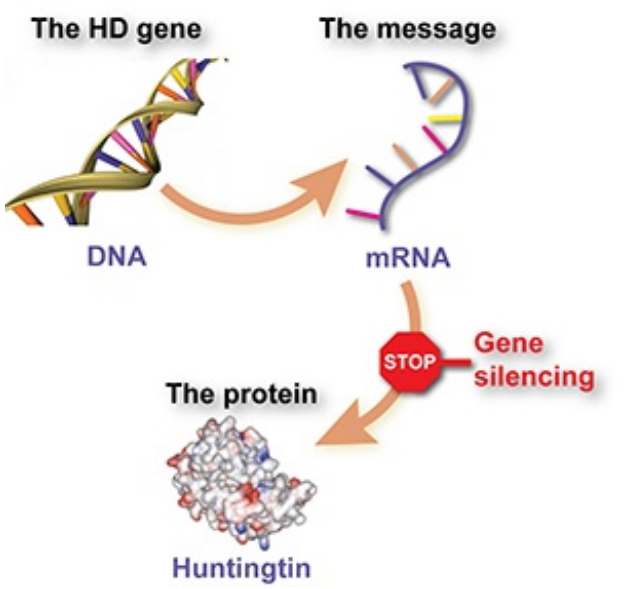
muizen zijn erg hoopgevend, maar alleen studies in mensen kunnen ons vertellen of deze medicijnen iets doen tegen de ZvH.

Waarom wordt een verhaal als dit uberhaupt geschreven? Het is helaas gemeengoed geworden voor kranten zoals the Daily Telegraph om persberichten van farmaceutische bedrijven, universiteiten en academische societeiten te gebruiken als bronmateriaal voor wetenschappelijk nieuws. In dit geval zou een klein beetje uitpluizen geleid hebben tot de ontdekking dat de klinische studie die zogenaamd aangekondigd werd, allang gaande is, en dat er geen enkel nieuws is voor de mensen om opgewonden over te zijn. Helaas heeft zorgvuldige wetenschappelijke journalistiek niet een hoge prioritiet bij veel nieuwsbureaus.

Dus, geen nieuws?

Terwijl de klinische studie die in the Daily Telegraph beschreven is al bekend is bij HDBuzz lezers, heeft het onderzoeksveld een grote doorbraak gehad waar je wellicht nog niet over gehoord hebt.

Ionis test hun ASO techniek naast de ZvH ook in andere hersenaandoeningen. Één van deze is een verschrikkelijke ziekte in kinderen genaamd *spinale musculaire atrofie*, wat resulteert in progressief verlies van spierfunctie, meestal leidend tot permanente invaliditeit en vroege dood.



Het doel van therapieën zoals ASOs is het ingrijpen in het normale proces waarop genen

Één experimentele behandeling voor spinale musculaire atrofie is de toediening van ASO medicijnen aan de

vloeistof die zich bevindt rondom het brein en ruggemerg. De ASOs die ontwikkeld zijn voor spinale musculaire atrofie hebben een andere sequentie dan degene die Ionis aan het testen is voor de ZvH, maar ze worden op ongeveer dezelfde manier toegediend, en ze hebben eenzelfde chemische struktuur.

(zoals het ZvH gen) omgezet worden in eiwitten.

Dus het is groot nieuws dat op 8 maart een groep onderzoekers de resultaten publiceerden van het succesvol voltooien van een veiligheidsstudie van een ASO medicijn voor spinale musculaire atrofie! Deze studie, erg vergelijkbaar met die van Ionis/Roche die nu bij de ZvH gedaan wordt, was ontworpen om te bepalen of de behandeling veilig was en goed tolereerbaar was bij kinderen met spinale musculaire atrofie.

Net als bij de ZvH klinische studie, moeten de ASO's tegen spinale musculaire atrofie ook direct in het ruggemergvloeistof toegediend worden. Datus is een relatieve standaardprocedure voor neurologen en is erg vergelijkbaar met een ruggeprik die veel vrouwen krijgen tijdens de bevalling, maar natuurlijk wel gecompliceerder dan het innemen van een pilletje. Dus is het belangrijk nieuws dat kinderen met spinale musculaire atrofie het medicijn teogediend hebben gekregen op deze manier, zonder grote complicaties.

De spinale musculaire atrofie studie geeft ons ook erg belangrijke nieuwe informatie over hoe lang de ASO het uithoudt in de vloeistof die om het brein heen zit. Onderzoekers hebben gevonden dat zelfs 4-5 maanden na een enkele injectie nog de helft van het geinjecteerde medicijn aanwezig was. Dit betekent dat we mensen wellicht

> “ Dus het is groot nieuws dat op 8 maart een groep onderzoekers de resultaten gepubliceerd hebben van het succesvol voltooien van een veiligheidsstudie van een ASO medicijn voor spinale musculaire atrofie!

minder vaak hoeven te doseren in toekomstige klinische studies, wat fantastich nieuws is.

Nog een grote bevinding van de spinale musculaire atrofie studie was dat de kinderen die de hoogste dosis van het medicijn kregen zelfs verbetering van hun symptomen hadden, wat niet verwacht werd als uitkomst bij spinale musculaire atrofie. De aantallen zijn erg klein (slechts 10 kinderen in de groep die verbetering liet zien), maar dit is een ongelooflijk verwachtingsvol resultaat voor de families die getroffen zijn door spinale musculaire atrofie, en het versterkt onze hoop wat betreft ASO's in de ZvH.

Negeer de ruis, houd je ogen op de prijs!

Deze drukke week met ZvH nieuws is een herinnering aan de ups- en downs van het proberen te volgen van ZvH onderzoek. Somes lijkt een grote doorbraak in het echt iets te zijn wat we al lang wisten, opgewarmd door de media die op zoek zijn naar een verhaal. Maar onthou dat belangrijke ontwikkelingen worden gemaakt in de kliniek en de laboratoria over de gehele wereld die ons een realistische hoop geven op potentiele behandelingen tegen de ZvH. Ons advies - probeer de ruis te negeren, wanneer grote doorbraken plaatsvinden, hoor je het hier van ons!

Ed Wild, co-editor-in-chief bij HDBuzz, is een onderzoeker in de Ionis-HTTRx klinische studie. Dr. Wild was niet betrokken bij het schrijven en reviseren van dit artikel, noch by de beslissing het te publiceren. Jeff Carroll, de auteur, heeft een langdurige niet-financiele samenwerking met Ionis Pharmaceuticals welke niet het medicijn betreft die in de Ionis Pharmaceuticals HTTRx klinische studie bestudeerd wordt. Medewerkers van Ionis of Roche waren niet betrokken bij het schrijven of reviseren van dit artikel. Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangensconflicten, zie FAQ…

Verklarende woordenlijst

ASO's een soort gen-uitschakelbehandeling waarin speciaal ontworpen DNA moleculen worden gebruikt om een gen het zwijgen op te leggen

---

© HDBuzz 2011-2016. 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 4 juni 2016 — Gedownload van http://nl.hdbuzz.net/215