

## Na Univerzitě v New Orleans NEBYLA objevena léčba Huntingtonovy nemoci

Věda prostřednictvím mimořádné tiskové zprávy prohlašuje, že objevila způsob jak opozdit projev symptomů HCH



Autor Dr Ed Wild | 05. Říjen 2013 | Editor Dr Jeff Carroll | Přeložil Monika Baxa

Poprvé publikováno 28. Leden 2013

**N**edávno v tiskové zprávě University New Orleans (UNO) vyšlo prohlášení, že tamní výzkumníci objevili způsob jak opozdit projev symptomů Huntingtonovy choroby. Lahodná hudba pro uši příbuzných pacientů s HCH po celém světě. Ale chová se věda podle reklamního tahu? Odpověď je prostá, bohužel ne.

### Věda

Výzkum, o kterém pojednává tisková zpráva, se zaměřuje na protein **Rhes**. Poslední dvě písmena představují zkratku “nashromážděný ve striatu” (enriched in striatum), protože ta část mozku, kde se Rhes nejvíc nachází, se nazývá **striatum**.



*Poutavé vědecké nadpisy bohužel ne vždy znamenají to, co se na první pohled může zdát.*

Striatum je taky místem, kde u pacientů s HCH odumírají neurony. Z tohoto důvodu a taky proto, že Rhes napovídá buňkám, kterých proteinů se mají zbavit, přitahuje pozornost výzkumníků, kteří se snaží porozumět HCH a vyvinout léčbu pro toto onemocnění.

Předešlý výzkum naznačuje, že Rhes protein by mohl být “spoluviníkem” mutovaného huntingtin proteinu v škodících neuronech. Jak to ale je ve skutečnosti, není jasné, protože jiní vědci objevili, že může mít i obranní účinky. A tak je Rhes tak trochu záhadou.

Pod vedením Dr. Geralda LaHoste výzkumníci na Univerzitě v New Orleans (UNO) použitím genetické manipulace a křížení vytvořili zvláštní myši model. Chtěli vědět, jestli se zdravotní stav myši, které mají škodlivý mutovaný huntingtin proteinlepší nebo zhorší v případě, když se u těchto myši tvoří Rhes v menším množství než je obvyklé.

HCH myši, které postrádají Rhes (Rhes deficientní), byly chovány a pozorovány po dobu 6 měsíců. Rhes deficientní myši taky onemocněly a byly u nich pozorovány pohybové problémy. Ale tyto problémy byly pozorovány v pozdějším věku v porovnání s HCH myši, které tvoří normální množství Rhes. Motorické pohyby byly pozorovány se zpožděním dvou měsíců.

Toto přilepšení v motorických symptomech je povzbuzující, ale příběh tímto není u konce. Podobně jako u pacientů s HCH, i mozky HCH myši se postupně zmenšují. Ukázalo se, že u Rhes deficientních myši **taky** dochází k ubývání mozkové hmoty. Samozřejmě, zmenšení mozku není něco, co bychom očekávaly jako vedlejší účinek terapie pro HCH.

Zpoždění nástupu symptomů díky Rhes, může být povzbudivým startem dlouhé cesty. Z podobných pokusů jako je tenhle, pokusů, které využívají genetické manipulace, se získává spousta poznatků, no bude trvat mnoho let, v kterých se dají očekávat nezdary kým se účinky Rhes budou dát aplikovat. Zvlášť když budeme chtít přejít od myši k lidem.

Je hodně důvodů proč výsledky získané u zvířecích modelů často nemožno přenést na pacienty. Tady si musíme uvědomit, že myši použité v této práci tvoří jenom malou část huntingtin proteinu, co z nich, v porovnání s jinými, které by mohly být použity, dělá méně vhodný model. A zaznamenané opoždění nástupu projevů symptomů o 16 %, i když lepší jako nic, rozhodně není nejlepším zlepšením, jaké bylo použitím genetických manipulací pozorováno.

## Tisková zpráva

Tiskové zprávy jsou dvojsečné zbraně. Jsou užitečným způsobem jak světu zprostředkovat průlomové objevy. Ale moc často jsou psané způsobem, který upoutá pozornost, ale zároveň přežene obsah publikované vědecké práce.

Abychom jsme to uvedly na pravou míru, máme závažné výhrady k tiskové zprávě, kterou UNO zveřejnila. Obsahuje množství prohlášení, která by mohli vzbudit naději pro budoucí pokrok, a přitom není velmi pravděpodobné, že by se dostavil.

Aby bylo jasné, neříkáme, že někdo schválně uvedl veřejnost do omylu. Jen, že “dobrá prodejnost” je něco, čemu vědci a univerzity potřebují zabránit.

## Zpoždění nástupu symptomů HCH

„Tato tisková zpráva je názorným příkladem toho jak nerozvážné psaní může nafouknout

Začínajíc úplně na začátku, nadpis informuje o tom, že výzkumníci objevili způsob jak oddálit nástup symptomů HCH.

Jak již víme, co na UNO v skutečnosti objevily, je genetická manipulace, díky které je myš méně citlivá k efektům HTT mutace, no zároveň i u těchto myší dochází k zmenšování mozku. I když je pravda, že nástup symptomů je zpožděn, **myši onemocní na Huntingtonovu chorobu**. Všichni vědci to vědí, takže kdokoli vydává tiskové zprávy, měl by se vyvarovat titulků, které mohou být v prohlášení o léčbě, o kterém toužíme všichni číst, zavázející.

Záleží na tvořivosti při psaní nadpisů? **Ano** - a tady je vysvětleno proč.

Aby se nové léčiva dostala k pacientům, potřebují uspět v klinických testech. Tyto testy ve všeobecnosti vyžadují stovky dobrovolníků z řad pacientů, čili z populace zaneprázdněných lidí, kteří zápasí s tím, aby vedli normální život. Huntingtonova choroba není časté onemocnění - a v současnosti se pro přítomnost mutace rozhodlo testovat jenom 20 % lidí v riziku. To znamená, že skupina dobrovolníků, která nám pomáhá vyvinout léčiva je poměrně malá a my se spoléháme na jejich dobrou vůli a důvěru ve vědecké konstatování.

Ve chvíli když někdo čte nadpis, který slibuje dobré správy pro rodiny s HCH, a po přečtení je zklamán, když se dozví, že věda neposkytuje to, co nadpis slibuje, riskujeme, že ztratíme dobrovolníky. Tím posouváme objevení se účinných léčebných přístupů na trhu o něco dál. Toto je totální tragedie, které se dá lehkou předejít vydáváním zodpovědných tiskových zpráv.

## První léčba?

Dále, Dr. LaHoste říká: “Věřím, že tyto objevy jsou důležité, protože můžou vést k vytvoření první léčby pro tuto chorobu.” Jenomže, Rhes mechanismus je relativně nová a nepřezkoumaná položka na seznamu pro vývoj potenciálních léků pro HCH. A dále propast mezi genovou manipulací jakou provedl Dr. LaHoste a tabletkami, určenými pacientům je velká a bude trvat několik let, kým se přemostí.

To znamená, že prohlášení Dr. LaHoste přeceňuje potenciál této práce. A zároveň **podceňuje** pokrok ve vývoji léků, které jsou vyráběné jinde na světě.

V skutečnosti jsou pokusné léčebné přístupy jako např. huntingtin silencing (umlčení) tak perspektivní, že očekáváme, že s klinickými testy u pacientů s HCH se začne již v blízké budoucnosti. Do takových léčebných přístupů se vkládá nejvíc naděje pro úspěch.

Tedy je teoreticky možné, že léky zaměřené na Rhes by mohli být první v tom jak opozdit HCH. Avšak je spousta jiných přístupů, které můžou být úspěšné dřív.

## Proč tam jsou statiny?

Jedno prohlášení v tiskové zprávě je obzvláště matoucí. Říká, “na základě těchto zjištění, vědci věří, že druh léků, které snižují hladinu cholesterolu, zvané statiny, by mohli značně zpomalit symptomy HCH”. Tady je podivné to, že ani cholesterol ani statiny nejsou v rozebíraném článku zmíněny. A co víc, neznáme žádnou spojitost mezi Rhes a statiny.



*Náš článek “Desatero pro čtení novinek ze světa výzkumu” má za cíl ochránit Vás před zklamáním z naděšených tiskových zpráv.*

Takže toto prohlášení se zdá být neoprávněné a potenciálně může vyústit k velkému zklamání u pacientů a jejich příbuznými. Aby bylo jasné, není **žádný** důkaz, že by užívání statinů pomáhalo při HCH - či už z prací uskutečněných na zvířatech, lidech nebo jakýchkoli jiných.

## Myši nejsou lidé!

O něco níže tisková zpráva padá do pasti. Informujíc o oddálení v nástupu symptomů u geneticky pozměněných myší říká: “Vzhledem k průměrné délce života těchto myší, by toto oddálení u lidí mohlo představovat 5 let”.

Dle našeho názoru, je velmi pošetilé toto naznačovat. Dokonce LaHosteho původní článek samotný varuje, že “je těžké porovnávat průměrné délky života mezi jednotlivými zvířecími druhy”. A kdokoli kdo sleduje výzkum HCH ví, že ze spousty léků, které myším prospívaly **žádný** nepřináší prospěch pacientům s HCH.

Předpovídání prospěchu pro pacienty z práce uskutečněné na myších - speciálně za tak specifických podmínek, vede k riziku vytvoření falešné naděje a následně ke skutečnému zklamání.

## Jaké si z tohoto můžeme vzít ponaučení?

Všehovšudy to, co tady popisujeme je poměrně jednoduchá studie informující o skromném prospěchu z geneticky modifikovaného myšího modelu, společně s potenciálně znepokojivými vedlejšími účinky. Poskytuje podporu pro další studii Rhes, ale k tomu, aby měla pro pacienty s HCH přímý prospěch je potřeba ujít ještě dlouhou cestu. Práce o Rhes mechanismech pokračuje v několika laboratořích a kdyby došlo k nějakému zásadnímu objevu, budeme Vás informovat.

Tisková zpráva, která doprovází vědeckou publikaci, je názorným příkladem toho, jak - i když nikdo nechtěl nikomu uškodit - očekávání můžou být nafouknuta přehnaným tvrzením. Co následně riskuje podražení noh naší snaze napomáhat výzkumu zahrnutím rodinných příslušníků pacientů s HCH.

Zejména apelujeme na vědce a média, aby si při přípravě tiskových zpráv pro veřejnost uvědomily jejich pravdivost a svojí zodpovědnost.

Kancelář pro komunikaci s veřejností Univerzity v New Orleans nereaguje na naše výzvy komentovat tuto tiskovou zprávu.

Abychom Vám pomohly třídit mezi nadějí a přeceněním, když čtete tiskové zprávy, připravili jsme pro Vás “Desatero pro čtení novinek ze světa výzkumu”.

---

*U autorů nedochází k žádnému střetu zájmů. [Pro více informací o našich zásadách pro zpřístupnění informací nahlédněte na FAQ...](#)*

---

## SLOVNÍK

**huntingtin protein** protein tvořený z genu zvaného huntingtin

**neurony** buňky mozku, které ukládají a přenášejí informace

**terapie** ošetřování

**Rhes** protein, který se nachází v oblastech mozku poškozených v počátcích HCH

**HTT** jedna ze zkratk pro gen, který způsobuje Huntingtonovu chorobu. Stejný gen je také nazýván HD a IT-15

---

© HDBuzz 2011-2018. Obsah HDBuzz je sdílen zdarma, v rámci Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz má informační charakter, nenahrazuje odbornou péči. Pro více informací navštivte [hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

Vytvořeno dne 28. Červen 2018 — Staženo z: <https://cs.hdbuzz.net/114>

Některý text na této straně ještě nebyl přeložen. Níže je zobrazen v původním jazyce. Pracujeme na tom, abychom jej přeložili co nejdříve.