



Huntingtons sjukdom forsknings nyheter.

I klartext Skrivna av forskare

För de globala HS medlemmarna.

[Nyheter](#) [Ordlista](#) [Om](#)

[Om](#)

[Personer](#) [Vanligt förekommande frågor](#) [Rättslig](#) [Finansiering](#) [Dela](#) [Statistik](#) [Ämnen](#) [Kontakta](#)

[Följ](#)

[Följ](#)

[Twitter](#) [Facebook](#) [RSS](#) [Flöde](#) [Email](#)

[Sök HDBuzz](#)

 

 [svenska](#)

[svenska](#) 

[čeština](#) [dansk](#) [Deutsch](#) [English](#) [español](#) [français](#) [italiano](#) [Nederlands](#) [norsk](#) [polski](#) [português](#) [svenska](#) [русский](#)

 [中文](#) 

[Mer information..](#)

Söker du vår logga? Du kan ladda ner vår logga och få information om hur du kan använda den på vår [dela sidan](#)

HS möss bidrar med ett användbart misslyckande

Kan misslyckade läkemedelsstudier vara till hjälp? En HS mus studie visar på ett tillvägagångssätt som inte fungerar



Av [Dr Jeff Carroll](#) 31 juli 2014 Redigerad av [Dr Tamara Maiuri](#) Översatt av [Erika Timewell](#) Först publicerad den 22 juli 2014

Målet för alla inom HS gemenskapen är att ta fram en effektiv behandling för sjukdomen. En ny publikation beskriver en mus-studie på HS som kortfattat visar att en föreslagen behandling inte fungerar. Varför blir vi glada för negativa nyheter?

Mus-studier i HS

Det vore bra om vi kunde göra all vår grundläggande forskning på personer med HS. Såvitt vi vet är människan den enda typen av däggdjur som får HS. Men det finns många försök som skulle vara omöjliga och oetiska att göra på människor. För att, tex. prova experimentmedicin är det bäst att göra det på djur först innan man provar på människor. Det svåra är, eftersom inga djur har HS naturligt, måste man med genetiska laboriemetoder ge djuren en mutant HS-gen. Detta kan göras på många olika sätt; till och med HS forskare är inblandade över

mängden av olika djurmodeller som finns, var och en med sina styrkor och svagheter.

Trots alla skillnader är själva grundidéen om hur man testar HS-läkemedel på djur ganska så väl förstådd. Vi tar en HS-mus, ger dem ett experimentläkemedel och sen ger vi samma läkemedel till en icke HS-sjuk mus som vi kallar kontrollindivid. Förhoppningsvis kommer behandlingen att hjälpa HS-musen att se mer ut som musen utan HS.

Transglutaminase-2 i HS

Många nya experimentella behandlingar för HS börjar med en observation av vad som går fel i celler och vävnader hos HS individer och HS möss. Om forskarna identifierar en biologisk process som är ökad hos de med HS arbetar dom med att försöka förändra processen i motsatt riktning genom läkemedel eller andra laboratorietekniker. Om en normal cellprocess händer mer sällan i HS gruppen försöker forskarna hitta sätt att öka cellprocessen.

Om du har följt HS forskningsvärld har du kanske hört talas om en liten cellulär maskin som kallas "transglutaminase-2" eller TG2. I vävnader från HS patienter och i mus-modeller är aktiviteten av TG2 ökad i jämförelse med hos icke HS prover. Baserat på dessa resultat undrar forskarna vad som skulle hända om dom kunde få bort TG2 hos mössen.

Resultat från flera försök visar på att HS möss som inte har TG2 (så kallade "knock-out" möss) var skyddade från vissa symptom och levde längre än vanliga HS möss. Detta var speciellt intressant eftersom TG2 också var målet för en experimentell behandling för HS kallad "cysteamine". När forskarna satte cysteamin på celler blockerade det aktiviteten av TG2. När det gavs till HS-djur verkade cysteamine ha en skyddande effekt.

Dessa fakta ritade en relativt klar bild: få bort TG2 genetiskt eller genom att använda ett läkemedel och HS mössen kommer att bli bättre. Dessa bevis som verkade gå i samma riktning pekade mot att TG2 skulle vara ett bra "mål" för utveckling av läkemedel för HS. Baserat delvis på dessa resultat har ett företag som heter Raptor Pharmaceuticals startat en pågående studie. Studien kallas CYST-HD och undersöker om cysteamine behandling är fördelaktigt för HS patienter.

Med det måste vi säga att senare fakta tyder på andra sätt som cysteamine är bra för celler förutom blockering av TG2. Så vare sig cysteamin fungerar genom att blockera TG2 eller ej är det värt att avsluta CYST-HD studien vars preliminära resultat var intressanta.

Nya fynd

En ny studie har precis blivit publicerad av forskare från 2 företag, Psychogenics Inc och CHDI foundation och dessa studier har en intressant påverkan på TG2 i HS. Baserat på tidigare resultat som pekar på att genom att ta bort TG2 skyddades HS mössen, har forskare på Psychogenic och CHDI börjat utveckla en ny grupp som fokuserar på TG2.

Medan dom gjorde det försökte dom duplicera/göra om tidigare mus-studier som visade lovande resultat i att minska TG2. Duplicering är kärnan i forskning - om jag säger att gravitation kommer att få ett äpple att falla mot marken, äpplet skall falla oavsett vem som släpper äpplet. Med komplicerade studier som denna läkemedelsstudie är duplicering svårare att göra men skall vara möjligt om resultatet är sant.

Den stora gruppen forskare försökte göra om dom tidigare studierna genom att föda upp möss som saknade TG2 med två olika genetiska modeller av HS. Studien var noggrant kontrollerad och en stor mängd möss användes. Mössen undersöktes avseende många olika beteendeförändringar inklusive viktiga undersökningar för tankeförmåga. Efter det att mössen avlivats undersöktes deras hjärnor väldigt noggrant för att se om det hade varit fördelaktigt att ta bort TG2 som tidigare studier visat.

Faktum är att forskarteamet såg att det inte på något av de sätt dom undersökte mössen på var fördelaktigt att ta bort TG2 från mössen. Rörelseproblemen, tankeproblematiken och förlusten av kroppsvikt var lika stora hos de möss utan TG2 som hos de med. I korthet- att ta bort TG2 från mössen gjorde dom inte alls bättre.

Vad är det då som är bra med dåliga nyheter?

Vid en första anblick kan informationen om att ta bort TG2 från mössen inte hjälper verka som dåliga nyheter. Men den här omfattande analysen av frågan gör något verkligen viktigt, den bevisar att vi inte längre behöver följa upp denna idé. Färre mål att fokusera mot betyder att HS forskarna kan fokusera sina insatser och resurser på idéer som har större sannolikhet att fungera och det tycker vi är verkligt goda nyheter.

Författarna har inga intressekonflikter att uppge. [För mer information om vår informationspolicy se våra FAQ](#)



Lär dig mer

[link till originalmanuskriptet, publicerat på journalen PLOS one tillgänglig för alla \(fri access\)](#)

Ämnen

[klinisk studie](#) [djurmodell](#) [musmodell](#)

[Mer..](#)

Relaterade artiklar

[Upplysning av framskridandet av Huntingtons sjukdom](#)

2 juli 2014

[Benmärgstransplantation vid Huntingtons sjukdom](#)

4 januari 2012

[Att skruva ner volymen med dantrolen hjälper HS-möss](#)

9 december 2011

[Föregående](#)[Nästa](#)

Huntingtons sjukdom forsknings nyheter.

I klartext Skrivet av forskare

För de globala HS medlemmarna.

HDBuzz

[Nyheter](#)

[Tidigare visat](#)

[Om](#)

[HDBuzz sponsor partners](#)

[Sidor med HDBuzz innehåll](#)

[**new_to_research**](#)

Personer

[**meet_the_team**](#)

[**help_us_translate**](#)

Följ HDBuzz

Prenumerera på vår sammanfattning varje månad genom att ange din e-postadress nedan eller få fler alternativ på vår [Sida med eposlista](#)

 

© HDBuzz 2011-2019. Innehållet på HDBuzz är fritt att dela, under en licens [Creative Commons Licence](#).

HDBuzz är inte en källa för medicinska råd. Vänligen se våra [Villkor för användning](#) för full information.

© HDBuzz 2011-2019. Innehållet på HDBuzz är fritt att dela, under en licens Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz är inte en källa för medicinska råd. Mer information tillgänglig från hdbuzz.net

Skapad 18 april 2019 — Nedladdad från <https://sv.hdbuzz.net/169>

Några texter på denna sida har ännu inte översatts. Texten visas nedan på dess original språk. Vi arbetar med att översätta allt innehåll så snart som möjligt.