

## 2011 – год исследований по болезни Гентингтона



Итоги исследований по болезни Гентингтона за прошедший год и первого года работы HDBuzz

Публикация Dr Ed Wild от 11 февраля 2012

Под редакцией Dr Jeff Carroll; Перевод Dr Yury Seliverstov

Первоначально опубликовано 31 декабря 2011

*За 2011 год произошло много значимых событий, в том числе и в сфере изучения болезни Гентингтона (БГ). Начиная от запуска ресурса HDBuzz и расширения сообщества по изучению БГ и заканчивая захватывающим прогрессом в области фундаментальных наук и появлением уверенности в том, что открытие эффективных способов лечения близко, как никогда. Наш взгляд на прошедший 2011 год и предстоящие перспективы.*

### HDBuzz, год первый

17 января 2011 года, запуская ресурс HDBuzz, мы терзались сомнениями, будет ли интересен кому-либо этот проект. Но отзывы, которые мы стали получать от посетителей практически сразу после открытия нашего проекта убедили нас, что, наоборот, мы недооценивали большую потребность в достоверной и доходчиво изложенной информации о всём новом в изучении БГ. Чтение ваших отзывов и личные встречи с посетителями ресурса остаются для нас источником вдохновения и побуждают к дальнейшей работе.

HDBuzz продолжает расширяться. В 2011 году консорциум спонсирующих нас организаций увеличился с трёх до двенадцати ассоциаций семей с БГ. HDBuzz позиционирует себя как ведущий ресурс информационной поддержки исследований по БГ, обеспечивающий новостями посредством RSS-каналов девятнадцать крупных Интернет-ресурсов, посвящённых БГ. Разработанный HDBuzz инновационный подход к научной коммуникации был темой передовой статьи сентябрьского номера известного научного журнала Trends in Molecular Medicine (Актуальные вопросы молекулярной медицины).

Также, благодаря команде из 55 переводчиков-волонтеров из разных стран (спасибо, друзья - вы просто молодцы!), наши статьи теперь доступны на 10 языках (планируется перевод и на



Немного удачи и в 2012 году мы станем свидетелями проведения клинического испытания препарата, препятствующего экспрессии гена БГ у людей

другие языки). (Язык отображения можно поменять, находясь на любой страничке HDBuzz.net, кликнув левой кнопкой мыши на иконку с изображением земного шара в правом верхнем углу.)

Если Вы читаете это - значит Вы попали в хорошую компанию. Ежемесячно на HDBuzz регистрируется около 60-70 тысяч посетителей; более 2200 человек подписались на получение новостей через электронную почту, Twitter или Facebook.

Что касается перспектив, то нам приятно сообщить, что успех HDBuzz в 2011 году побудил нас продолжить дальнейшую работу над развитием этого проекта. Три наших основных партнёра-спонсора - Американское общество по БГ (HD Society of America), Канадское общество по БГ (Huntington Society of Canada) и Ассоциация по БГ Англии и Уэльса - выделили средства для дальнейшего финансирования в течение 2012 года и последующих лет. В ближайшее время мы ожидаем расширение этого списка.

## Исследовательский процесс

Одной из наших основных целей является повышение информированности о процессе разработки и одобрения новых лекарственных препаратов. Мы считаем, что возможность получать информацию о большом числе экспериментальных препаратов и проследить весь процесс от их разработки до непосредственно клинических испытаний на людях является способом противостояния чувству неудовлетворённости, которому часто подвержены пациенты с БГ из-за недостатка эффективных методов лечения, или разочарования при неэффективности какого-то препарата.

Проведённая в феврале ежегодная конференция по терапии БГ, организуемая фондом CHDI, только подтвердила это. HDBuzz публиковал ежедневные обновления и интервью с конференции. Мы были впечатлены разнообразием препаратов на всех стадиях разработки и, особенно, работой медицинских химиков - людей, которые разрабатывают лекарства, безопасно воздействующие на необходимую мишень. Конференция также напомнила нам, что в борьбе против БГ объединились одни из талантливейших учёных мира.

## Год клинических испытаний

С точки зрения результатов клинических испытаний, прошедший год был неоднозначным. Крупные триалы по двум препаратам - **миноциклину** и **димебону** - которые тестировались как возможные средства для замедления прогрессирования заболевания, показали свою неэффективность, и дальнейшая их разработка прекратилась.

Конечно, нам было бы приятнее сообщить о положительных результатах этих исследований, однако, мы хотим вновь повторить наше любимое выражение о том, что наука накапливает все знания и движется всегда вперёд. Полученные отрицательные результаты помогут нам сконцентрировать усилия на разработке более действенных лекарств, и в любом случае они уже помогли создать необходимую инфраструктуру для

эффективного проведения клинических испытаний.

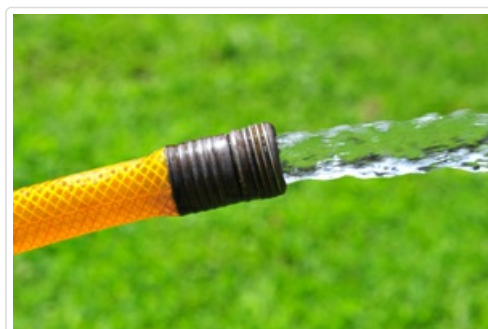
2011 год был бурным для NeuroSearch в разработке их препарата, призванного влиять на двигательные проявления БГ - **гентексила** (известного также как ACR16 и придопидин). Результаты двух клинически испытаний - MermaiHD в Европе и HART в США - показали пограничное преимущество данного препарата в улучшении контроля над произвольными движениями. Летом Европейское и Американское агентства по контролю за лекарственными препаратами сообщили компании о необходимости проведения следующего крупного клинического испытания (третья стадия испытаний) перед тем, как они смогут одобрить применение данного лекарства. Осенью приоритеты NeuroSearch поменялись, и компания сконцентрировала свои усилия на гентексиле, поэтому теперь мы ждём новостей о запланированном клиническом испытании.

В феврале мы взяли интервью у руководителя отдела по нейронаукам корпорации Novartis и были поражены работой группы по изучению БГ. Ноябрь принёс неутешительные вести о том, что Novartis решила закрыть европейский исследовательский центр по нейронаукам в Швейцарии. Снова не те новости, которые мы бы хотели услышать, но мы находим утешение в том факте, что группа по изучению БГ продолжает свою работу в отделении компании Novartis в штате Массачусетс, и работа этой компании внесла значительный вклад в поиск эффективных препаратов.

## Лекарства на подходе

Члены семей с БГ часто отмечают, что в течение последних двадцати лет им говорят, что “в ближайшие пять лет появится лекарство”. Темпы научного прогресса могут быть неутешительно медленны, однако, Всемирный конгресс по БГ в Мельбурне в сентябре (ставший доступным нашим посетителям благодаря функции Oz Buzz) напомнил нам о тех многих препаратах, которые уже были протестированы или будут готовы к клиническим испытаниям в ближайшие год или два.

Спросите сто исследователей БГ, какой, по их мнению, механизм действия необходимо реализовать при разработке лекарства для лечения БГ, и большинство из них скажут - **заставить ген молчать**. Подавить, или ингибировать, ген БГ - всё равно, что выключить кран при переполняющейся ванне. Подавляющие ген препараты блокируют “сигнальные” молекулы, которые активируют продукцию клеткой мутантного белка гентингина. Надежды возлагаются на то, что подавление гена таким образом предотвратит повреждение клетки и позволит ей восстановиться.



Большое количество возможных лекарственных препаратов против БГ находится на тех или иных стадиях разработки

2011 год был значимым с точки зрения изучения ингибирования генов: несколько исследовательских групп достигли успеха в лечении БГ на моделях этого заболевания у грызунов - отмечалось не только замедление прогрессирования, но даже улучшение

состояния. В октябре мы сообщили, что выключение только мутантного гена при сохранении функции его интактной копии хорошо работало на мышах. Уже не менее трёх исследовательских групп сообщили о положительных результатах испытания безопасности препаратов на приматах, и, возможно, уже скоро начнётся решающий этап испытаний перед апробацией на людях. Надеемся, что это произойдёт. Немного удачи и как минимум одно из таких испытаний запустится до начала 2013 года.

Помимо препаратов, подавляющих ген, целый ряд других лекарств либо ожидает клинических испытаний, либо уже находится на этой стадии. В Европейском союзе в рамках Паддингтонского проекта на базе исследовательских центров по всей Европе проводится поиск препарата, ингибирующего фермент **сиртуин-1** (планируется публикация статьи на HDBuzz, посвящённая сиртуинам). Pfizer и другие компании работают над созданием ингибиторов ферментов **фосфодиэстераз**, применение которых может улучшать синаптическую передачу между нейронами. Prana Biotech недавно анонсировала проведение второй фазы клинического испытания влияющего на медный обмен препарата **PBT2** в Австралии и США. Планируется проведение клинических испытаний также других препаратов для лечения БГ.

Проводимые разработки препаратов против БГ осуществляются на фоне разрастания и укрепления международного сообщества по изучению БГ. Благодаря таким ключевым исследованиям, как PREDICT-HD и TRACK-HD, мы приобрели хороший опыт эффективного проведения испытаний лекарственных препаратов.

## Начиная с мелочей...

Но что, если лекарство не будет работать или будет недостаточно эффективно? Даже несмотря на это, существуют десятки других препаратов, находящихся в разработке по всему миру. В 2011 году мы сообщали об успешном испытании на мышах нескольких веществ с новыми механизмами действия: ингибиторов кинуренин-монооксидазы (КМО), влияющих на фолдинг (укладку) белков препаратов, мелатонина, дантролена, ингибиторов гистоновых деацетилаз и других.

Исследовательский процесс непрерывен. Одна из наших любимых статей, опубликованных в минувшем году, была посвящена новым взглядам на конфигурацию и функцию мутантного и интактного белка гентингина; получены интересные доказательства влияния мутантного гентингина на функцию подвижных микроскопических ресничек - цилий; подтверждается мнение, что БГ является заболеванием всего организма, при котором поражается не только головной мозг, но также и эндокринная и пищеварительная системы.

Все эти научные достижения - как снежинки, падающие на вершину ледника. Каждая снежинка поодиночке не играет никакой роли, но когда их выпадает много в течение многих лет, они могут сдвигать горы.

## Перспективы

Мы не знаем, что принесёт нам 2012 год, но, безусловно, понимаем, что для каждого пациента с БГ и людей из группы риска время неуклонно идёт вперёд. К счастью, научный прогресс также не стоит на месте, и, хотя мы не можем сказать точно, когда будет доступен эффективный препарат для лечения БГ, мы уверены, что лечение БГ возможно, и момент, которого мы все так ждём, приближается.

Так как с наступлением нового года принято давать обещания, мы обещаем усердно трудиться в течение 2012 и продолжать держать вас в курсе новейшей информации по исследованиям БГ.

Мы хотим поблагодарить вас, наших читателей, за те успехи, которых достиг проект HDBuzz за первый год своего существования. Ваш энтузиазм продолжает вдохновлять нас, и мы надеемся, что с новыми научными достижениями мы сможем дать людям с БГ более осязаемую надежду в 2012 году.

---

*Авторы не сообщают о конфликте интересов. Для получения более подробной информации о политике распространения информации перейдите в наш раздел [ЧаВо...](#)*

---

© HDBuzz 2011-2018. Вся информация с HDBuzz может распространяться бесплатно с ссылкой на источник, согласно Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License. HDBuzz не является источником медицинских рекомендаций. Подробная информация - на сайте [hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

Сформировано 17 января 2018 — Загружено с <https://ru.hdbuzz.net/066>