

Новости об исследованиях болезни Гентингтона. На доступном языке. Написано исследователями. Для всех, интересующихся БГ.

Что кроется за громким заголовком: результаты клинического исследования цистеамина



По результатам клинического исследования II–III фазы, эффективность цистеамина при болезни Гентингтона сомнительна.

Публикация Melissa Christianson от 02 апреля 2016

Под редакцией Dr Jeff Carroll; Перевод Dr Yury Seliverstov

Первоначально опубликовано 18 декабря 2015

В начале декабря компания Raptor Pharmaceuticals опубликовала результаты клинического исследования по применению препарата под названием цистеамин при болезни Гентингтона. Новостные заголовки пестрели громкими заявлениями, в связи с чем редакция HDBuzz решила пояснить, что на самом деле означают полученные в этом исследовании результаты для людей, каким-либо образом связанных с болезнью Гентингтона.

Клинические исследования и гранаты

Клинические исследования и гранаты имеют кое-что общее между собой, хотя, на первый взгляд, это может быть не таким очевидным. Для того, чтобы добраться до вкусных зёрен в сердцевине граната, нужно аккуратно развести его кожуру и перегородки — так же и с результатами клинического исследования: чтобы добраться до их сути, необходимо убрать в сторону их новостные заголовки.

Обе эти задачи довольно трудоёмки, однако не переживайте! HDBuzz здесь для того, чтобы помочь вам пробраться сквозь красивые заголовки, найти реальные факты и понять, что результаты клинического исследования означают для людей, каким-либо образом связанных с болезнью Гентингтона (БГ).

До этого мы уже публиковали несколько материалов, объясняющих, что представляют собой клинические исследования и как интерпретировать опубликованные по их результатам новости. Каждый раз, когда вы начинаете читать о каком-либо конкретном исследовании, в первую очередь, необходимо помнить о том, с какой целью оно проводилось: **выяснить пользу от применения определённого лекарства при БГ.**



Для того, чтобы добраться до сердцевины граната, нужно аккуратно развести его кожуру и перегородки — так же и с результатами клинического исследования: чтобы добраться до их сути,

В настоящей статье, посвящённой только что опубликованным результатам недавно завершённого клинического исследования по БГ, мы будем придерживаться этого же принципа.

необходимо убрать в сторону их новостные заголовки.
Изображение предоставлено:
Freelimages

Немного истории

Данные, которым посвящена эта статья, получены в клиническом исследовании фазы II/III, проводившимся компанией Raptor Pharmaceuticals. В нём изучался цистеамин – препарат, уже преодолевший ряд препятствий на пути к регистрации для применения при БГ с целью отсрочки появления симптомов заболевания. HDBuzz следила за новостями этого клинического исследования с самого его начала — основная информация о нём представлена в нашей предыдущей статье.

По данным лабораторных исследований, известно, что цистеамин, известный также как RP103, делает много хорошего для головного мозга. Он может предотвращать загрязнение головного мозга склеивающимися белками, стимулировать восстановление клеток головного мозга, повышать содержание веществ, которые поддерживают его клетки в здоровом состоянии, и удалять излишки металлов, токсичных для головного мозга. Теоретически, любой из этих эффектов (или все они) может оказаться полезным для отсрочки появления симптомов БГ у человека.

Учитывая большую длительность клинического исследования, компания Raptor разделила его на две части. На первом этапе участники исследования случайным образом были разделены на две равные группы: одна получала цистеамин два раза в сутки, а другая — пустышку (плацебо). На втором этапе участники, получавшие пустышку, также начинали получать цистеамин (а уже получавшие его ранее — продолжали принимать препарат). Такое устройство исследования гарантирует, что ни один из участников исследования не будет лишён возможного положительного действия препарата, если таковое имеется.

Как и многие клинические исследования по БГ, исследование компании Raptor планировало разрешить целый ряд вопросов относительно реальности и механизмов действия препарата на симптомы БГ. Наиболее важные из них, которые мы называем **конечными точками** и ответы на которые характеризуют успешность проведённого исследования, касались двигательных симптомов. В частности, первичной конечной точкой являлась возможность цистеамина тормозить прогрессирование характерных для БГ двигательных симптомов. В исследовании изучалось также, влияет ли цистеамин на иные показатели, такие как общий функциональный статус человека, уровень его независимости, а также анализировалась безопасность применения этого препарата.

Результаты исследования не достигли своей цели

Исследование CYST-HD завершено, и его результаты уже известны. В начале декабря компания Raptor опубликовала сообщение, где очень размыто представило результаты исследования.

Для каждого клинического исследования наиболее значимым результатом является достижение первичной конечной точки. Помните: эта конечная точка определяет, следует ли нам и государственным органам, таким как FDA или Минздрав, которые, в конечном счёте, ответственны за регистрацию препарата для применения при БГ, рассматривать клиническое исследование в целом как успешное или безуспешное.

К сожалению, клиническое исследование компании Raptor не достигло своей основной цели (первичной конечной точки). Даже несмотря на то что двигательные симптомы у людей, получавших цистеамин, казалось, прогрессировали медленнее по сравнению с группой, получавшей пустышку, этот эффект не был достаточно большим или последовательным, чтобы считаться *статистически значимым* (подробнее об этом чуть позже).

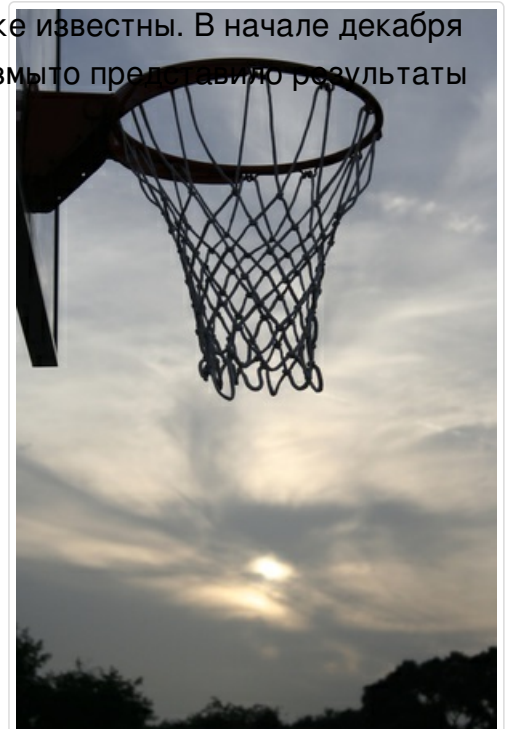
Более того, несмотря на то что при анализе компанией Raptor специально отобранной подгруппы участников исследования влияние препарата на двигательные симптомы и было более заметным, оно всё равно не достигало порога статистической значимости.

Тем не менее, в сочетании с результатами других тестов, проводившихся в исследовании, которые оценивали функциональный статус и уровень независимости, эти неоднозначные данные свидетельствуют о том, что цистеамин может иметь некоторое влияние на БГ, которое не удалось выявить при проведении основного анализа материалов исследования.

Действительно ли так важна статистическая значимость?

Для того, чтобы понять, что, в итоге, означают полученные неоднозначные результаты для людей, связанных тем или иным образом с БГ, необходимо помнить то, с чего мы начали эту статью: **клинические исследования проводятся для того, чтобы выяснить пользу от применения определённого лекарства при БГ.**

Все мы — исследователи, фармацевтические компании и, в особенности, сообщество пациентов — очень хотим найти действенный препарат для лечения БГ. В то же время, такое желание иногда может создавать риск того, что мы сосредотачиваемся на ложных



К сожалению, клиническое исследование компании Raptor не достигло своей основной цели (первичной конечной точки).
Изображение предоставлено: Freelmages

тенденциях или, что ещё хуже, начинаем верить в препарат, который на самом деле не работает.

Статистическая обработка позволяет уменьшить эти риски и понять, можно ли доверять полученным в исследовании результатам или они являются случайными.

То, что результаты достижения первичной конечной точки исследования компании Raptor не были “статистически значимыми”, является серьёзным заявлением. Это означает, что выявленное действие препарата вполне могло быть случайностью. С математической точки зрения, цистеамин не повлиял на симптомы БГ сколь-либо отлично от пустышки. Поэтому, даже после этого трёхлетнего клинического исследования, **у нас пока нет доказательств пользы от применения цистеамина при БГ.**

Что дальше?

Даже несмотря на то что исследование компании Raptor не достигло своей основной цели, мы всё равно можем извлечь два важных урока из полученной информации.

Во-первых, исследование дало разнозвенные зацепки, что цистеамин может некоторым образом замедлять появление симптомов БГ у ряда пациентов. В связи с этим, изучая несколько отличающуюся популяцию пациентов или задаваясь другими вопросами относительно влияния препарата на симптомы БГ, теоретически, всё ещё возможно попытаться извлечь пользу от цистеамина.

Во-вторых, исследование подтвердило, что цистеамин безопасен при применении у пациентов с БГ — это означает отсутствие непереносимых побочных эффектов при его применении.

Вооружившись этими новыми данными, компания Raptor считает, что получила достаточно информации для того, чтобы спланировать новое клиническое исследование с более высоким шансом на успешный исход (т.е. исследование, которое покажет, что цистеамин уменьшает прогрессирование симптомов БГ в значительно большей степени по сравнению с пустышкой).

Мы не можем предсказать будущее, поэтому мы не знаем, принесёт ли подобное исследование желаемый результат. Вместе с тем, опыт говорит, что путь изучения цистеамина довольно сложен. Другие препараты, такие как креатин и кофермент Q10,



Вооружившись данными, полученными в исследовании CYST-HD, компания Raptor считает, что получила достаточно информации для того, чтобы спланировать новое клиническое исследование с более высоким шансом на успешный исход. Изображение предоставлено: Freelmages

изучавшиеся при БГ и не показавшие своей эффективности в основных исследованиях, не показали преимущества и в последующих клинических исследованиях. В связи с этим, мы относимся к новому исследованию цистеамина со сдержанным оптимизмом и с определённой долей осторожности.

Какова мораль этой истории?

Безусловно, мы разочарованы результатами исследования CYST-HD, но следует помнить, что каждое исследование по БГ, даже неудачное, даёт нам новые знания и опыт для того, чтобы сделать будущие исследования более успешными. Анализ того, что в реальности кроется за новостными заголовками, позволяет лучше понять результаты клинического исследования, избежать ложного понимания и двигаться вперёд к эффективному лечению БГ.

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

Глоссарий

Статистическая значимость — согласно результатам статистического теста, случайный характер выявленного явления маловероятен.

Клиническое исследование — тщательно спланированное исследование, направленное на изучение влияния лекарственного препарата на человека.

© HDBuzz 2011-2017. 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

Сформировано 17 июля 2017 — Загружено с <https://ru.hdbuzz.net/209>