

Bilaga 1 – Mall/Rubriker för den populärvetenskapliga sammanfattningen

Titel

Utveckling av en ny behandling av den ovanliga autoimmuna nervsjukdomen CIDP.

Sökord (key words, max 5)

CIDP, EAN, immunologisk tolerans, nervsjukdom

Syftet med försöket (enligt artikel 5 Direktiv 2010/63/EU)

Syftet med försöket är att utveckla en ny behandling av den inflammatoriska nervsjukdomen CIDP hos människor genom att utvärdera effekten av behandlingen i en musmodell av nervsjukdomen, känd som Experimentel Autoimmun Neurit (EAN).

Beskriv försökets mål (de vetenskapliga frågorna, eller de vetenskapliga, kliniska behoven som ska mötas)

CIDP (Medicinsk benämning: Kronisk inflammatorisk demyeliniserande polyneuropati) är en autoimmun inflammatorisk sjukdom där kroppens eget immunsystem bryter ner nerverna i det perifera nervsystemet, dvs de nerver som styr våra muskler ute i kroppen och även tex signallerar känsel. Patienterna upplever svaghet, domningar, stickningar, smärta och svårighet att gå. CIDP uppträder vanligtvis i 30-60-års åldern och är vanligare hos unga vuxna än hos äldre och vanligare bland män än kvinnor. CIDP kan även uppstå hos barn och ungdomar och kan då leda till permanent funktionsnedsättning. Om CIDP inte behandlas blir ca 30% rullstolsbundna. Det är en sällsynt sjukdom och drabbar ca 9 av 100 000 individer.

En tredjedel av alla patienter blir inte hjälpta av den behandling som finns idag och det finns ett stort behov av nya behandlingsformer för att underlätta livet för dessa patienter.

Vi föds med ett immunsystem som inte ska attackera kroppsegna vävnader. Detta fenomen kallas för tolerans. Av olika, oftast okända anledningar, kan toleransen brytas och då utvecklas en autoimmun sjukdom, dvs celler i kroppens egna immunsystem börjar attackera kroppsegen vävnad. Den i särklass bästa behandlingen av autoimmuna sjukdomar vore därför att återskapa den medfödda toleransen i kroppens immunsystem igen. Genom att under särskilda omständigheter tillföra delar av det kroppsegna ämnet som cellerna attackerar hoppas vi kunna återställa toleransen i kroppen. Vi gör detta genom en form av vaccination med delar av det kroppsegna ämnet.

Vid nervsjukdomen CIDP känner man till vilka kroppsegna ämnen som attackeras och vi tror därför att vi kan behandla dessa patienter med vårt system. Genom att använda oss av en musmodell som liknar denna nervsjukdom i människa hoppas vi kunna utveckla en ny behandling som kan ha en bra effekt på sjukdomen i människa.

Vilka potentiella nyttor förväntas komma ur försöket (vilka vetenskapliga framsteg kommer att nås, hur kan människor eller djur dra nytta av försöket)?

Genom att utvärdera effekten av vår behandling i djurmodellen av sjukdomen kommer vi att få en uppfattning om denna behandling skulle kunna vara en lovande behandling för CIDP i människor. I förlängningen skulle detta kunna leda till utvecklingen av den första behandlingen av CIDP i människa som motverkar sjukdomsutveckling och inte enbart dämpar symptomen.

Vilka arter ska användas, och hur många djur?

I försöket kommer möss att användas, maximalt 1000 möss under 5 år.

Vilka är de förväntade negativa effekterna på djuren och vilken är den förväntade svårhetsgraden?

Mössen kommer först att uppvisa en svaghet i svansen som sedan successivt utvecklas till en vinglig gång, okoordinerade rörelser och en svaghet i bakkroppen. Ett fåtal av djuren i varje försök kommer att få en mild förlamning av bakkroppen i de värst drabbade djuren. Detta visar sig som en svårighet att gå och en vingling gång. De flesta djuren kommer dock att uppvisa väldigt milda symptom. Symptomen är övergående och mössen får inga bestående men.
Försöket innebär en måttlig svårhetsgrad.

3R-aspekter

1. Ersätta (Replace)

Beskriv varför djur måste användas och varför djurfria alternativ inte kan användas

För att undersöka behandlingseffekten måste försöken utföras i djur då det ännu så länge inte finns några modeller eller provrörssystem som kan återspegla ett komplett immunsystem.

2. Begränsa (Reduce)

Förklara hur man har försäkrat sig om att använda så få djur som möjligt.

Genom att använda en välkänd djurmodell som är stabil kan antalet djur i varje grupp hållas så lågt som möjligt och ändå ge statistiskt signifikanta resultat. Tidigare studier och resultat från dessa studier i liknande djurmodeller leder till att experimenten kan läggas upp på ett effektivt sätt för att nå önskade resultat på minsta antal försök. Vi har tidigare visat på god behandlingseffekt i musmodeller och kan därigenom använda samma doser och dosschema och använder på så sätt färre djur och slutsatser kan dras för ett flertal liknande modeller för autoimmuna sjukdomar. Musmodellen av CIDP är väletablerad vilket leder till att vi kan använda färre djur i försöken och resultaten blir trovärdiga, accepterade av andra forskare samt publicerbara.

3. Förfinna (Refine)

Förklara valet av art och varför den valda djurmodellen är den mest förfinade. Beskriv de insatser som gjorts för att minimera välfärdskostnaderna för djuren.

Detta behandlingsätt har vi använt i flera olika djurmodeller tidigare med mycket bra effekter och utan mätbara biverkningar eller obehag för djuren. Musmodellen återspeglar sjukdomen i människa på ett bra sätt vilket gör att vi så snart som möjligt kan dra slutsatser om behandlingens potential att fungera i människa. Den aktuella metoden för induktion av sjukdom är väl etablerad och publicerad och uttestad för att ge ett bra resultat med lägsta möjliga sjukdomsgrad och minsta möjliga gruppstorlek. Genom att använda en redan väl etablerad modell och metod för induktion av sjukdom blir resultaten trovärdiga, accepterade och publicerbara.

Följande ska fyllas i av nämnden

Försöket ska utvärderas i efterhand

Ja

Nej

Eventuella tillägg eller ändringar som nämnden har beslutat

Matthias Svårhetsgrad