

THE LANCET

搜索 在 [高级搜索](#)

[家](#) | [日志](#) | [专业](#) | [临床](#) | [全球健康](#) | [音频](#) | [会议](#) | [信息](#) | [医疗保健人才招聘](#)

“柳叶刀”，卷373，第9667期，第888 - 889页 2009年3月14日
DOI: 10.1016/S0140-6736(09)60534-1 [引用或连结使用DOI](#)

< [上一篇文章](#) | [下一篇](#) >

复杂的经验教训：洛伦佐Odone和医学奇迹



[巴伦·勒纳](#)

毫无疑问，洛伦佐Odone一直住到30岁，因为他的父母，奥古斯托和麦克拉Odone，不顾医生和开发两种烹饪油的混合物作为一种可能的治疗他们的儿子毁灭性的疾病。1992年的电影《罗伦佐的油》，纪念这个英勇的努力，成为一个鼓舞人心的其他处理疑难杂症条件的患者及家属的传奇。然而，洛伦佐的故事告诉我们，作为医学研究的局限性，因为它的胜利。

到了这个时候，洛伦佐的故事，死于2008年5月31日，是众所周知的。他是个异常早熟的5岁的时候，他于1983年开始行为异常。医生最终诊断他患有adrenoleucodystrophy (ALD)，一个破坏性的遗传性神经疾病的小男孩，会造成混乱，情绪激动，并最终反应迟钝几年内死亡。医生告诉他的父母，有没有治疗和洛伦佐就注定了。不愿意相信这一点，Odone，没有任何一人的医疗培训，成为在附近的图书馆，美国国立卫生研究院的灯具。短短几个月内，他们工作ALD的科学家召开了第一次国际会议。从本次会议于1986年和随后的研究，Odone，使用的见解，开发出了被称为罗伦佐的油，成功地降低了他们的儿子极长链不饱和脂肪酸，被认为是在ALD引起的神经毒性的浓度。

截至1992年，电影《罗伦佐的油》被释放时，它不知道是否很长链不饱和脂肪酸的浓度降低，其实是帮了洛伦佐和他的遇难同胞。这其实并没有理会导演乔治·米勒，他的电影不加掩饰地庆祝Odone的成就，并描绘了ALD的专家对科学更感兴趣的病人比福利。在电影结束后，几十个男生运行，并参加体育活动。他们依次宣布他们的名字和状态多久，他们已采取罗伦佐的油。言外之意是油治愈或阻止他们得到ALD。

令人惊讶的是，ALD，他们两人都相信人的希望与片中饰演的电影愤怒的科学家和受影响的家庭。但Odone笑到了最后。当的后期乌戈·莫泽，世界的专家对ALD和洛伦佐的医生之一，最后公布的数据，2005年，它成为明确的，虽然油做一点已经生病的男孩，它防止酒精性肝病的发病中容易受到男生的三分之二否则一定会死于这种疾病。这是一个惊人的科学成就，率先由两名外行人。

历史可以照亮洛伦佐的故事。第一志愿健康协会是在美国国家协会研究和预防结核病（即现在的美国肺脏协会），成立于1904年。但它也被称为March of Dimes的，国家小儿麻痹基金会资助的研究活动的想法，可能直接导致医学上的突破，巩固。在这种情况下，筹集的资金不仅支持的Jonas Salk的研究和阿尔伯特萨宾也有试验表明脊髓灰质炎疫苗的疗效。不过，市民仍然怀疑许多实验研究的结果，往往是没有知情同意的囚犯，孤儿，智障，和其他圈养种群。

但在20世纪80年代初，艾滋病的出现，一切都变了。高度组织化的男同性恋群体，面临着一个神秘的危及生命的疾病，积极倡导更多的科研经费，并尽早纳入实验验证。他们的论据是有说服力的，足够美国食品和药物管理局（FDA）的修改协议，加快药品审批过程中。再次，宣传，资金，病情严重的患者，并希望之间的连接。“人们说，这不利于用钱的事情”，雨果·莫泽体现在他的职业生涯的晚期。“但是，”她说。

这段历史提供了一个背景评估了Odone的努力。乍一看，洛伦佐的故事似乎是一个简单的胜利忠实的父母吵架的医疗机构。然而，尽管的Odone的成就是显着的，实际的经验教训Lorenzo的生活更加暧昧。对于一件事，关注Odone的批评是非常重要的。绝望的致命疾病的患者可能会加入风险的研究协议，认为干预可能帮助他们情况，在现实中，病童可能是最有可能受益。在其他情况下，这样的研究只是积累的科学知识，有利于未来的病人。虽然阿比盖尔联盟群体，如已敦促美国法院最近的裁决找到一个身患绝症的病人获得未经批准的实验性疗法的宪法权利，已经在另一个方向。

在这些情况下，法官的怀疑源于一个事实，即备受推崇的治疗方法，最初似乎有前途的轶事信息的基础上，经常会被证明更有效的标准治疗方案。例如，干细胞移植的晚期乳腺癌患者和肿瘤学家的积极性实际上是一个非常昂贵的，危险的实验性治疗导致保险公司支付。“我不觉得我有权利不提供移植到一个女人谁想要一个”，一个肿瘤科医生说。然而，归根结底，随机化试验表明该过程是有限的临床价值。在电影《罗伦佐的油》的主要ALD专家警告说，不要说话的时候，父母要求的未经检验的油，问他们“你真的不希望我认可的治疗的基础上，一个充满希望的观察，这种类型的虚假的希望？”

另一个缺陷是积极进取的实验活动家可能会不同意以上的潜在价值，具体的干预措施。例如，在数年后，他就瘫痪了，演员克里斯托弗·里夫称为自己的“人的豚鼠”，并推动胚胎干细胞研究，他认为这将让他和其他瘫痪的个人再次走。但其他活动家认为，里夫的目标是不现实的，挪用资金更有前途，那么显着，进步。

新的医疗技术是另外一个问题，而不是制造治疗，他们可能会延长，很难为患者和家庭的生活状态。**洛伦佐无视所有的预言活到30岁，能享受的东西，比如音乐和按摩服务，并以有限的方式进行交互和他的家人。**但由于油的治疗，而不是本质上是一种预防剂，洛伦佐仍然严重神经功能受损，卧床，无法说话，而美联储通过管。**尽管他们令人难以置信的成就，Odone只完成他们梦想中的一小部分。**

最后，战略对抗疾病的Odone构建了挑战医疗机构，使研究人员一起，奠定基础，并游说更多研究资金，取得了一些戏剧性的突破。截至2009年，类似的维权活动存在数以百计的其他疾病。全国罕见疾病组织在其网站上列出了139个组织，包括国际Rett综合症协会的国家脆性X基金会。这种日益激烈的竞争，面对有限的资金流，这意味着某些情况下比其他人产生更多的兴趣。

甚至当钱已经即将到来，许多疾病仍然顽强地抵抗研究进展。这些条件包括：家族自律神经失调，帕金森氏病，肌萎缩性侧索硬化症，以及胰腺癌，肺癌，和其它固体癌症。艺人杰里·刘易斯在美国，已筹集资金进行性肌营养不良自20世纪60年代以来，通过劳动节的募捐活动，但研究仍是在“石器时代”，作为一个著名的医生近日表示。事实上，在他们的成功发展罗伦佐的油后，Odone建立的**的髓鞘项目**寻求保护环绕在大脑和脊髓神经的髓鞘损害的的ALD和类似疾病的治疗。但也出现了没有可比性的突破。

因此，归根结底，而洛伦佐Odone的情况下，提供了一个可能的医学进步的蓝图，它是不是在所有有代表性的故事。积极的研究，往往会导致到死角和虚假声称真正的进步。

那么，什么可以做什么？命运多舛的乳腺癌干细胞移植经验的基础上，理查德·雷蒂格和他的同事们提出了“公私伙伴关系”的卫生专业人员，保险公司，研究资助者和病人评估和优先考虑最前沿的研究计划。该计划将得到所有利益相关方的表，并鼓励他们的工作范围内建立了科学的过程。

然而，同时雷蒂格的建议是健全和关键，个人的故事，可怕的疾病，像洛伦佐，将继续激励其他特定的患者，家庭，和科学家，以试图操纵资金，宣传，和药品的审批过程中，他们认为可能的方式提供直接的好处。这将是尤其是当传闻案件据称是成功的治疗疾病的问题已经出现了。这将是很难说“不”。由于希望公众支持昂贵的医疗研究计划的基础上，抓住救命稻草是剥夺了绝望的病人和家庭困难，甚至不恰当的。**毕竟，即使像罗伦佐的油突破很少发生，但确实发生了。**

延伸阅读

Odone 6月1日，2008年 OdoneÇ。感谢上帝，我的兄弟洛伦佐。“每日邮报”。<http://www.dailymail.co.uk/femail/article-102350/>。（2009年2月24日）。

雷蒂格，等。，2007 雷蒂格 RA，雅各布森 PD，法夸尔 CM，奥布里 WM 虚假的希望：骨髓移植治疗乳腺癌。纽约：牛津大学出版社，2007年。

2006年雷纳，雷纳 BH，当病情上市：名人的患者，我们如何看待医学 巴尔的摩约翰·霍普金斯大学出版社，2006年。

莫泽等。，2005年 莫泽 HW，雷蒙德 GV，陆 SE等。后续的89无症状患者肾上腺脑白质营养不良的治疗罗伦佐的油。《凯旋门》神经病学 2005，62：1073-1080。医学

2000年琼斯，琼斯 AH 医学与电影：罗伦佐的油世纪末。《安内科杂志》2000，133：567-571。医学

[一个](#) 中心的历史和公共卫生伦理，哥伦比亚大学，纽约，NY 10032，USA