



Phase: IIb

Ziel: Finden einer Dosis von Branaplam, die sicher ist, gut vertragen wird und das mutierte Huntingtin im Nervenwasser (CSF) reduziert (35 - 50 %)

Status: Rekrutierung hat ca. Ende 2021 gestartet

Dauer: 16 Wochen & 1 Jahr offene Verlängerung

Teilnehmer:innen: Betroffene, TFC > 8, 25 bis 75 Jahre, CAG > 40

Beteiligte Huntington-Zentren in Deutschland: Ulm, Münster, Erlangen, Bochum

Sponsor: Novartis

Name des Wirkstoffs: Branaplam

Art der Verabreichung: oral, Saft (wöchentlich)

Art der Beobachtung: Lumbalpunktion, um Huntingtin-Menge im Nervenwasser zu messen; MRT-Untersuchung des Gehirns

Allel-selektiv: nein

Anzahl Teilnehmer weltweit: 75 (in 3 Kohorten); Kanada, USA, Spanien, Frankreich, UK, Belgien, Litauen, Deutschland, Ungarn, Italien, Russland

Weitere Links:

- Konferenz zur Behandlung der Huntington-Krankheit 2022 - Tag 3 - HDBuzz - Neuigkeiten aus der Huntington-Forschung.
- Novartis Update, HDYO Online Conference, March 2022
- Ein Löffel Branaplam sorgt für niedrigere Huntingtin-Werte - HDBuzz - Neuigkeiten aus der Huntington-Forschung auf HDBuzz
- A Dose Range Finding Study With Open-Label Extension to Evaluate the Safety of Oral LMI070/Branaplam in Early Manifest Huntington's Disease - Full Text View - ClinicalTrials.gov

- Introduction to Novartis & Vibrant HD by EHA, January 2022 - Vibrant HD - Novartis clinical trial for Huntington's Disease - YouTube