



Phase: II

Ziele: Sicherheit des Medikaments sowie Veränderungen der Huntingtin-Protein-Konzentration, des Biomarkers NfL und verschiedene klinische Messungen der Anzeichen und Symptome der Huntington-Krankheit untersuchen

Status: in Rekrutierung seit Q1/2022

Dauer: 12 Wochen + 1 Jahr offene Verlängerung

Teilnehmer:innen: Betroffene, ab 25 Jahre, CAG 42 - 50, sehr frühe Symptome der Huntington-Krankheit

Beteiligte Huntington-Zentren in Deutschland:

Name des Wirkstoffs: PTC-518

Sponsor: PTC Therapeutics

Art der Verabreichung: Tablette plus Lumbalpunktion zur Nervenwasser-Entnahme

Anzahl Teilnehmer weltweit: 162 Teilnehmende in USA, Großbritannien, Frankreich, Deutschland und Australien

Weitere Links:

- Konferenz zur Behandlung der Huntington-Krankheit 2022 - Tag 3 - HDBuzz - Neuigkeiten aus der Huntington-Forschung.