



Phase: III

Ziel: Wirksamkeit und Sicherheit

Status: in Auswertung (nach vorzeitigem Stopp der Dosierungen im März 2021)

Dauer: 24 Monate

Teilnehmer:innen: Betroffene im Stadium 1 bis 3

Beteiligte Huntington-Zentren in Deutschland:

- Aachen: Uniklinik RWTH Aachen; Klinik für Neurologie
- Berlin: Charité - Universitätsmed. Berlin, Klinik für Psychiatrie und Psychotherapie; Abt. Neuropsychiatrie
- Bochum: St. Josef-Hospital, Neurologische Klinik der Ruhr-Uni; Huntington-Center NRW, Abt. Neurodegeneration
- Bonn: German Center for Neurodegenerative Diseases (DZNE)
- Erlangen: Universitätsklinikum Erlangen, Abteilung Molekulare Neurologie
- Lübeck: Zentrum für Seltene Erkrankungen, Institut für Neurogenetik, CBBM, Universität zu Lübeck
- Münster: George-Huntington- Institut GmbH; Technologiepark Münster
- Ulm: Universitätsklinikum Ulm; Klinik für Neurologie

Name des Wirkstoffs: Tominersen

Sponsor: Roche / Genentech

Art der Verabreichung: Lumbalpunktion

Allel-selektiv: nein

Anzahl Teilnehmer weltweit: ca. 800

Weitere Links:

- Konferenz zur Behandlung der Huntington-Krankheit 2022 - Tag 3 - HDBuzz - Neuigkeiten aus der Huntington-Forschung.
- Antisense Oligonucleotide Therapy: From Design to the Huntington Disease Clinic (springer.com), Englisch, März 2022
- Brief von Roche an die globale Huntington-Gemeinschaft (18. Januar 2022)
- Unterlage zum Stand der Datenauswertung, "Roche Genentech Update zum klinischen Entwicklungsprogramm von Tominersen" (Stand November 2021, HSG)
- Brief von Roche an die Huntington-Gemeinschaft zur Datenanalyse (Englisch und Deutsch, Stand September 2021, EHDN)
- Video zur Erläuterung der vorläufigen Ergebnisse: <https://youtu.be/Gx4W1zwzRIM> (Stand Juni 2021):
- DHH Online-Seminar zum Stopp der Dosierungen:
Aufzeichnung: https://youtu.be/y5_2s8EZzLM (28. März 2021)
und <https://youtu.be/482jcqsDGN8> (8. Mai 2021)
- Stopp der Dosierungen:
 - Deutsch:
 - HDBuzz-Artikel "Generation-HD1 ASO Studie von Roche und Ionis abgebrochen"
 - Pressemeldung auf Deutsch (22. März 2021)
 - Brief von Roche an die Huntington-Gemeinschaft auf Deutsch, (März 2021)
 - Englisch:
 - Pressemitteilung (auf der Webseite von Roche), dass die weiteren Dosierungen mit deren Wirkstoff Tominersen im

Rahmen der weltweiten Generation HD 1 Studie (Phase 3) gestoppt wurden.

- Roche schickt diesen Brief an die Huntington-Gemeinschaft (auf Englisch) und unterstreicht sein Commitment gegenüber der Huntington-Krankheit und der Huntington-Gemeinschaft. Lauren Boak, Global Development Leader für das Tominersen Programm bei Roche schickt diese Videobotschaft (auf Englisch)
- Rekrutierung abgeschlossen, Brief von Roche an die weltweite Huntington-Gemeinschaft, (April 2020)
- Übersetzung der Beschreibung der Phase 3 Studie, siehe auch: clinicaltrials.gov (August 2019)
- Änderung Studienprotokoll (zwei-monatlich statt monatlich) - HDBuzz <https://de.hdbuzz.net/272> (März 2019)
- Ankündigung auf HDBuzz: <https://de.hdbuzz.net/263> und <https://de.hdbuzz.net/265> (Oktober 2018)
- Stellungnahme des Wissenschaftlichen Beirats der DHH zur Pressemitteilung der Firma IONIS über den Abschluss der IONIS-HTTRx-Studie (2018)
- Broschüre und ausführlichere Zusammenfassung der Studienergebnisse der offenen Verlängerungsstudie mit Tominersen (nach der Phase 1/2a-Studie, Stand April 2021)