

# uniQure

**Phase:** I/II. Erste Studie einer Gentherapie bei der Huntington-Krankheit.

**Ziel:** Sicherheit (Anzahl und Art von Nebenwirkungen), Verträglichkeit und Wirksamkeit

**Status:** in Rekrutierung bis ca. Ende 2022

**Dauer:** 12 Monate (verblindet) + 5 Jahre Langzeitnachbeobachtung

**Teilnehmer:innen:** Betroffene im Stadium 1 bis 2 der Huntington-Krankheit, 25 bis 65 Jahre, TFC 9 - 13, CAG > 40

**Beteiligte Huntington-Zentren in Deutschland:** GHI Münster mit Operation in Düsseldorf (Dr. Vesper)

**Name des Wirkstoffs:** AMT-130

**Sponsor:** uniQure

**Art der Verabreichung:** Einmaliger operativer Eingriff, um Wirkstoff, der in einen Virus verpackt ist, direkt ins Gehirn zu bringen.

**Allel-selektiv:** nein

**Anzahl Teilnehmer weltweit:** 26 in USA (16 mit Gentherapie, 10 Schein-OP) plus 15 in Europa (alle mit Gentherapie - Münster, Cardiff, Warschau)

## Weitere Links:

- Konferenz zur Behandlung der Huntington-Krankheit 2022 - Tag 3 - HDBuzz - Neuigkeiten aus der Huntington-Forschung.
- Gute Nachrichten von uniQure: Gentherapie-Studie auf dem Weg und vielversprechende Daten in Tieren (April 2021): <https://de.hdbuzz.net/302>
- Erklärvideo zu AMT-130 (April 2020): <https://www.youtube.com/watch?v=qILELaiWtcE>
- Details zur ersten klinischen Studie einer Gentherapie gegen die Huntington-Krankheit (Juli 2019): <https://de.hdbuzz.net/274>
- UniQure will die Huntington-Krankheit mit einem Virus besiegen - und macht wichtige Fortschritte (Januar 2019): <https://de.hdbuzz.net/267>
- Studienbeschreibung für USA (Englisch): <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04120493>
- Studienbeschreibung für Europa (Englisch): Safety and Efficacy of AMT-130 in European Adults With Early Manifest Huntington Disease - Full Text View - ClinicalTrials.gov