

2 b)

Das Besondere an dem in dieser Studie verfolgten Ansatz ist die selektive Reduktion des kranken Huntingtins, während das gesunde Huntingtin weiter produziert werden kann. Da Huntingtin wichtige Funktionen im Gehirn hat, wird vermutet, dass der Erhalt des gesunden Huntingtins Vorteile vor allem bei einer langfristigen oder auch sehr frühen Anwendung der Therapie haben könnte.

In Deutschland sind folgende Zentren aktiv: das George-Huntington-Institut in Münster, das Huntington-Zentrum Süd in Taufkirchen und die Ruhruniversität Bochum. Interessenten*innen (können sich bei diesen Zentren melden. Die Studie wird vom Europäischen Huntington-Netzwerk unterstützt. Weitere Details siehe vorherige Ausgaben des Huntington-Kuriers.

Offenlegung von möglichen Interessenkonflikten: Dr. Reilmann ist der Leiter der Klinischen Prüfung für die SELECT-HD Studie in Deutschland, Mitglied des Internationalen Steering Komitees der Studie, Mitglied des „Dose Escalation Committee“ der Studie, Berater im Experten Advisory Board von WAVE und bietet die Studie als Principle Investigator am GHI in Münster an.



Erste Huntington-Gentherapie-Studie in Deutschland – Rekrutierung läuft wieder

Die bereits mehrfach vorgestellte erste Gentherapiestudie für die Huntington-Krankheit von uniQure hat das Ziel, die Produktion von Huntingtin (Htt) durch den Einsatz eines Virusvektors zu hemmen. Die Therapie wird gezielt in den besonders von der HK betroffenen Hirnarealen der Basalganglien (Nukleus Caudatus und Putamen beiderseits) eingesetzt und erfordert nur eine einmalige neurochirurgische Operation in Vollnarkose. Ziel wäre dann eine lebenslange Reduktion der Produktion

von Huntingtin (nicht allel-spezifisch, d.h. es werden auch bei diesem Ansatz das kranke und gesunde Huntingtin teilweise reduziert).

Die Studie wird in Deutschland am George-Huntington-Institut (GHI) in Münster angeboten und durchgeführt werden. Patienten, die für die Studie geeignet sind, werden dann in der Abteilung für stereotaktische Neurochirurgie des Universitätsklinikums Düsseldorf von Herrn Prof. Dr. Jan Vesper und seinem Team operiert. Die Nachbetreuung erfolgt dann wieder am GHI.

Es ist geplant, dass insgesamt 15 Patienten an drei Zentren (GHI, Cardiff, Warschau) an der europäischen Studie teilnehmen können, von denen bereits mehrere in Cardiff und Warschau rekrutiert wurden. Wie im letzten Huntington-Kurier berichtet, wurde die Studie kurz vor dem erwarteten Studienstart in Deutschland wegen Nebenwirkungen in einigen der mit der höheren Dosis behandelten Patienten pausiert. Da im Verlauf ersichtlich wurde, dass die beobachteten Nebenwirkungen sich größtenteils wieder zurückbildeten (reversibel waren) und daher wahrscheinlich nur zu vorübergehenden Beeinträchtigungen führten, werden die amerikanische und europäische Studie jetzt fortgesetzt. Dies wurde auch von dem Sicherheitskomitee der Studie so empfohlen. Die Studie, die vom Europäischen Huntington-Netzwerk unterstützt wird, wird also nun voraussichtlich in Kürze auch in Deutschland beginnen.

Eine vor kurzem durchgeführte Zwischenanalyse der amerikanischen Studie zeigte bereits Trends einer Reduktion des mutierten Huntingtins im Liquor. Um die Aussagekraft der Analysen zu verbessern, soll voraussichtlich die Zahl der Studienteilnehmer in den USA und in Europa nochmal erhöht

werden. Darüber werden wir Sie an dieser Stelle in zukünftigen Ausgaben auf dem Laufenden halten.

Offenlegung von möglichen Interessenkonflikten: Dr. Reilmann ist „Global Principal Investigator“ [Studienleiter] sowohl der amerikanischen als auch der europäischen uniQure Studien, Leiter der Klinischen Prüfung für die HD*GeneTRX2 Studie in Deutschland, Berater im Experten Advisory Board von uniQure und bietet die Studie als Principle Investigator am GHI in Münster an. Die amerikanische und europäische Studie nutzen Q-Motor als Endpunkt.



VIBRANT-HD Studie von Novartis abgebrochen

VIBRANT-HD untersuchte mit Branaplam vergleichbar zu der PTC Studie ein oral einzunehmendes Medikament, dass die Produktion des Huntingtin-Proteins senken sollte – Details siehe vorherige Huntington-Kuriere.

Die Studie hatte bereits etliche Teilnehmer rekrutiert als bei einer relativ großen Zahl der mit Branaplam behandelten Patienten Nebenwirkungen sichtbar wurden. Nach ausführlicher Analyse der bereits zur Verfügung stehenden Studiendaten ist Anfang Dezember entschieden worden, dass eine Fortsetzung der Entwicklung von Branaplam für die Huntington-Krankheit leider nicht sinnvoll ist.

Die in Deutschland an der Studie beteiligten Zentren George-Huntington-Institut in Münster, Ruhruniversität Bochum, Universitätsklinikum Erlangen und das Universitätsklinikum Ulm werden sich mit Ihren Studienteilnehmern*innen in Verbindung setzen und alles weitere besprechen.

Offenlegung von möglichen Interessenkonflikten: Dr. Reilmann ist Berater im Experten Advisory Board von Novartis und bietet die