



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 Huntington-Krankheit 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 Patient*innen 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*innen 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.