

GENERATION HD1

Eine Studie zur Untersuchung der Wirksamkeit und Sicherheit von intrathekal verabreichtem RO7234292 (RG6042) bei Patienten mit manifester Huntington-Krankheit (HK)

ClinicalTrials.gov-Kennung:	NCT03761849
ID-Nummer der Referenzstudie:	BN40423
Sponsor der Studie:	Hoffmann-La Roche AG
Datum des Studienbeginns:	23. Januar 2019
Geschätztes Datum des Studienabschlusses:	August 2022

Ergebnisparameter

- Veränderung der Scores auf der Composite Unified Huntington's Disease Rating Scale (cUHDRS) gegenüber dem Ausgangswert [Zeitraum: vor Therapiebeginn, Woche 101].
 - Bei dem cUHDRS handelt es sich um einen aus verschiedenen Domänen zusammengesetzten Punktwert (Score), der Auskunft über das Voranschreiten der Huntington-Krankheit gibt. Er erfasst dabei die progressions-relevanten Domänen Motorik, Kognition und Funktion.
- Veränderung des Total Functional Capacity (TFC)-Scores gegenüber dem Ausgangswert [Zeitraum: vor Therapiebeginn, Woche 101].
 - Der TFC-Score ist ein Unterscore des cUHDRS und erfasst funktionelle Einschränkungen in Bezug auf die Arbeitsfähigkeit, Geldangelegenheiten, häusliche Routinetätigkeiten, Bewältigung der Grundversorgung und Erforderliche Versorgung.
- Daneben werden eine Reihe weiterer wichtiger Tests durchgeführt, um Nebenwirkungen und erwünschte Wirkungen zu untersuchen.

Studiendesign

Eine randomisierte, multizentrische, doppelblinde, placebokontrollierte klinische Phase-III-Studie zur Untersuchung der Wirksamkeit und Sicherheit von intrathekal verabreichtem RO7234292 (RG6042) bei Patienten mit manifester Huntington-Krankheit.

- Das bedeutet, dass die Patienten nach dem Zufallsprinzip entweder ein Scheinmedikament (Placebo) oder das Prüfmedikament (Verum) erhalten. Weder der Studienteilnehmer, noch der Arzt wissen, in welchem der Studienarme der Studienteilnehmer ist (entweder im Placebo- oder in einem der beiden Verum-Studienarme).

Studienarme

- Prüfmedikament RO7234292 alle 8 Wochen (RO7234292 wird alle 8 Wochen intrathekal verabreicht).
- Prüfmedikament RO7234292 alle 16 Wochen (RO7234292 wird alle 16 Wochen intrathekal verabreicht). Die Teilnehmer in diesem Studienarm erhalten in alternierenden Wochen auch Placebo, um die Verblindung aufrechtzuerhalten.
- Vergleichspräparat: Placebo alle 8 Wochen mittels intrathekalen Injektion.

Geschätzte Rekrutierung: 660 Patienten.

Eignungskriterien

Einschlusskriterien:

- Diagnose einer manifesten HK, mit einem DCL-Score von 4 (DCL: Diagnostic Confidence Level; ist ein klinischer Parameter, bei dem man sich zu 99 % sicher ist, dass die Motorsymptome, die beim Patienten auftreten, ihre Ursache in der HK haben).
- Genetisch durch DNA-Testung bestätigte Erkrankung mit einem CAP-Score* von > 400 .
- Klinische Untersuchung zur Sicherstellung, dass die Person vor Therapiebeginn über ausreichend funktionelle Unabhängigkeit verfügt, um sich selbst versorgen und Kernaktivitäten des täglichen Lebens verrichten zu können (IS (Independence Scale)-Score ≥ 70).
- Alter 25 Jahre bis 65 Jahre.

Ausschlusskriterien:

- Schwerwiegende Erkrankung oder klinisch bedeutsame Abweichungen von Laborwerten oder Vitalzeichen beim Screening, die nach Ansicht des Prüfarztes eine sichere Teilnahme des Patienten an der Studie bis zum Studienende ausschließen
- Schwangerschaft oder Stillzeit oder die Absicht, während der Studie oder innerhalb von 5 Monaten nach der letzten Gabe des Studienpräparates schwanger zu werden.

* Der CAP-Score ist das mathematische Produkt aus (Anzahl CAG-Wiederholungen - 33,66) x Alter. Der Score liefert ein Maß, mit dem der Schweregrad der Erkrankung zwischen Patienten verglichen werden kann.

Kontakt bei Fragen:

Medical Information Team Roche Grenzach

Telefon: 07624-2015

E-Mail: grenzach.arzneimittel@roche.com