

HDSA: FAQ zu den jüngsten Nachrichten von Ionis und Roche und ihrer Huntingtin-Verminderungs-Studie

Unsere Freunde von der @HDSA haben die häufigsten Fragen zu den Neuigkeiten von Roche/Ionis beantwortet.



Von Dr Leora Fox

6. Mai 2018

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll

Übersetzt von Rebecca

Ursprünglich veröffentlicht am 26. April 2018

Letzte Woche gab Ionis Pharmaceuticals eine Pressemitteilung heraus, nachdem sie Daten der klinischen HTTRx-(auch: RG6042)Studie auf einer wissenschaftlichen Konferenz präsentiert hatten. Roche, der Partner von Ionis, verfasste ebenfalls eine Mitteilung an die Gemeinschaft. Unsere befreundete Frau Dr. Leora Fox von der Huntington-Hilfe in Amerika (Huntington's Disease Society of America, kurz HDSA) notierte die häufigsten Fragen, die ihr dazu von der Huntington-Gemeinschaft gestellt wurden. Uns gefiel das so gut, dass wir uns entschlossen, es mit ihrer Erlaubnis auf HDBuzz wiederzugeben, sodass auch unsere Leser davon profitieren können.

Welchen Inhalt hatte die Pressemitteilung?

Zum größten Teil bestand sie aus Nachrichten, die wir bereits kennen: das Medikament wird gut vertragen und es hat die Menge an Huntingtin, dem Protein, dass bei der Huntington-Krankheit die Gehirnzellen schädigt, reduziert. Was seit einer Präsentation am 24ten April allerdings neu ist, ist dass sich bei den Patienten mit der Verringerung des Huntingtins auch eine Verbesserung bei einigen klinischen Tests der Huntington-Symptome zeigte. Da jedoch die Studie nur als Sicherheitstest ausgelegt war und noch nicht auf die Wirksamkeit des Medikamentes abzielen konnte, ist es weiterhin notwendig diese Verbesserungen in einer weiteren, größer angelegten Studie zu untersuchen.

Wird also ausgesagt, dass das Medikament wirkt?

Es ist momentan noch nicht möglich, diesen Schluss zu ziehen. Alles, was man weiß ist, dass das Medikament verträglich ist und sein Ziel trifft, für das es bestimmt ist. Die klinischen Ergebnisse, die Ionis nun mitteilte, sind ein erstes Vortasten - es nahmen nur 46 Patienten an der Studie teil, was einfach nicht genug ist, um sicher sagen zu können, dass die Symptome gelindert werden. Auch wenn die Beobachtungen also vielversprechend

sind, gibt es noch keine Statistiken, die eine klinische Verbesserung beweisen.

Was geschieht als Nächstes? Wird sich irgendetwas an der Vorgehensweise ändern?

Nein, Ionis gibt den Staffelstab nun an Roche weiter. Roche ist ein größeres Unternehmen, das in die Huntington-Gemeinschaft investiert. In den Vereinigten Staaten heißt das Unternehmen Genentech. Es wurde ein erfahrenes internationales Forscherteam zusammengestellt und mit der Planung und Koordination einer globalen klinischen Studie der Phase 3 beauftragt. Die Mitteilung vor kurzem war ihre neueste Botschaft an die Huntington-Gemeinschaft. In der Zwischenzeit können wir uns ermutigt fühlen, denn die weitere Analyse der Daten aus der Phase 1/2 Studie ist vielversprechend. Das zeigt sich auch dadurch, dass die Ergebnisse im Rampenlicht von internationalen Konferenzen vorgestellt werden. Dadurch ergibt sich ein zusätzlicher Nutzen für Huntington-Familien, da das Bewusstsein für die Krankheit unter Medizinern weltweit weiter steigt.

Wenn es so vielversprechend ist, worauf wartet man dann noch?

Sicherzustellen, dass Medikamente verträglich und wirksam sind, ist ein sehr zeitaufwendiger und stark regulierter Prozess. Roche-Genentech hat nun jede Menge Arbeit zu erledigen, einschließlich der sorgfältigen Ausgestaltung der Studie, der Identifizierung des medizinischen Personals und der teilnehmenden Einrichtungen, der fachgerechten Ausrüstung und Ausbildung der Teilnehmer, der Produktion des Medikamentes selbst und der Abwicklung der Finanzierung und der Auseinandersetzung mit Regularien zusammen mit vielen Institutionen weltweit. All diese Schritte verlangen Planung, Bürokratie und Geduld. Seien Sie gewiss, dass clevere und engagierte Köpfe dabei sind, die Huntington-Patienten und ihre Familien miteinbezogen, die daran arbeiten, dieses Medikament so schnell wie möglich in die Klinik zu bringen.

Kann ich mich für die Studie registrieren lassen oder meinen Namen auf eine Liste setzen?

Leider nein. Die Rekrutierung für die klinischen Studien erfolgt normalerweise über existierende Doktor-Patient-Beziehungen. Der Arzt entscheidet, ob ein Patient für die Teilnahme in Frage kommt und stellt die Verbindung her. Huntington-Hilfsorganisationen weltweit rufen auch aus diesem Grund immer wieder dazu auf, spezialisierte Ärzte aufzusuchen und/oder sich der Enroll-HD-Studie anzuschließen.

Es gibt eine wahre Flut von Leuten, die bereit sind, einen großen Sprung zu machen und teilzunehmen. Die Studie hat dieses Stadium noch nicht erreicht und Organisationen wie die HDSA haben keinen Einfluss auf die Auslegung der Studie, die Teilnahme oder die Auswahlkriterien. Es wird weit weniger "Plätze" als freiwillige Teilnehmer geben und daher verständlicherweise auch Enttäuschungen. Wir würden daher niemanden ermuntern, nun sein Leben auf den Kopf zu stellen und beispielsweise an einen anderen Ort umzuziehen, nur um in der Lage zu sein, an der Studie teilzunehmen. Wir freuen uns aber natürlich riesig über das Engagement der Gemeinschaft und wir werden weiterhin jede neue Information zur Verfügung stellen und nach bestem Wissen und Gewissen erklären.

Weiterhin könnte es sein, dass es in Ihrer Nähe auch ganz andere Möglichkeiten gibt, einen Beitrag zur Forschung zu leisten - probieren Sie einmal den [HDTrialfinder](#) for details.

Was leistet die HDSA, um die Studie und die Gemeinschaft zu unterstützen?

Die Mitarbeiter der HDSA arbeiten sehr eng mit dem Roche-Genentech-Team zusammen, um sicherzustellen, dass rechtzeitige und inhaltlich richtige Informationen über die Studie an die Huntington-Gemeinschaft weitergegeben werden. Die HDSA ist auch ein Gründungsmitglied der "Huntington's Disease Coalition of Patient Engagement (HD-COPE)", die dabei hilft, die Spezialisten aus der Industrie direkt mit den Patienten und ihren Familien in Verbindung treten zu lassen. HD-COPE unterstützt Firmen wie Roche, damit die Planung von Studien, damit Messungen und Teilnahmebedingungen den wirklichen Experten - nämlich den Huntington-Patienten und ihren Angehörigen - auch sinnvoll erscheinen.

Schließlich stellen wir weiterhin Details aus der Studie und Kontaktinformationen für die Teilnahme an offenen Forschungsstudien über den HD-Trialfinder zur Verfügung. Da die vorgesehene Studie allerdings noch nicht begonnen hat, wird sie hier noch nicht aufgelistet.

Wann, glauben Sie, wird das Medikament verfügbar sein?

Das ist extrem schwierig vorherzusehen. Studien können mehrere Jahre dauern und auch gerade bei diesem Medikament muss sehr vorsichtig vorgegangen werden, da es so grundlegend anders ist als Medikamente die nur die Symptome der Huntington-Krankheit behandeln. Liebend gerne würden wir einen konkreten Zeitplan veröffentlichen, aber man betritt hier Neuland und Vorhersagen sind einfach unmöglich. Der erste Schritt ist, zu sehen, ob das Medikament Symptome lindern oder die Huntington-Krankheit verlangsamen kann und genau das ist der Schwerpunkt der Phase-3-Studie.

Was kann ich im Moment tun?

Sorgen Sie dafür, dass Sie regelmäßig bei einem Arzt oder einer Expertengruppe mit Erfahrung mit der Huntington-Krankheit vorstellig sind, am besten bei solchen, die selbst forschen oder mit Forschungsgruppen zusammenarbeiten. Verfolgen Sie die Meldungen auf HDBuzz. Aber vor allem: passen Sie gut auf sich und Ihre Mitmenschen auf!

Im Kampf gegen die Huntington-Krankheit ist die Familie alles!

Die Autoren haben keine Interessenskonflikte offenzulegen. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...

GLOSSAR

Wirksamkeit Ein Maßstab, ob eine Therapie wirkt.

ALS Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

© HDBuzz 2011-2025. Die Inhalte von HDBuzz können unter der Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License frei verbreitet werden.
HDBuzz ist keine Quelle für medizinische Ratschläge. Für weiterführende Informationen siehe [hdbuzz.net](https://de.hdbuzz.net)

Erstellt am 16. Mai 2025 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/258>