

Aktueller Stand der PTC Therapeutics PIVOT-HD-Studie

PTC Therapeutics hat eine Erklärung veröffentlicht, in der mitgeteilt wird, dass die Rekrutierung von Teilnehmern für den US-Arm der PIVOT-HD-Studie pausiert wurde. In diesem Artikel werden wir genau darlegen, was bekannt ist und was es bedeutet.



Von Dr Rachel Harding und Dr Leora Fox 3. November 2022

Bearbeitet von Dr Tamara Maiuri Übersetzt von Rebecca
Ursprünglich veröffentlicht am 2. November 2022

Die Aufnahme von Teilnehmern an der PIVOT-HD-Studie in den USA von PTC Therapeutics wurde gestoppt. Seit dieser Ankündigung gab es eine Vielzahl unterschiedlicher (und verwirrender!) Schlagzeilen über den Rekrutierungsstopp. In diesem Artikel werden wir darlegen, was vor sich geht und was diese Ankündigung bedeutet.

Was ist das Ziel der PIVOT-HD-Studie?

Im Rahmen der von PTC Therapeutics durchgeführten PIVOT-HD-Studie soll untersucht werden, inwieweit das Medikament PTC518 bei Huntington-Patienten von Nutzen sein könnte, indem es die Huntingtin-Proteinwerte senkt. PTC518 kann in Tablettenform eingenommen werden und ist ein so genannter Spleißmodulator. Diese Art von Medikamenten kann die Verarbeitung von genetischen Botschaften verändern, was sich auf die Menge der kodierten Proteinmoleküle auswirken kann.

Im Fall von PTC518 beeinflusst das Medikament die Art und Weise, wie unser Körper die genetische Botschaft des Huntington-Gens verarbeitet, was zu einer Verringerung des Huntingtin-Proteinspiegels führt. PTC518 unterscheidet nicht zwischen der nicht expandierten und der expandierten Form des Huntington-Gens, so dass sowohl die reguläre als auch die toxische Form des Huntingtin-Proteins gesenkt wird. Weitere Informationen zu diesem Medikament finden Sie in einem Artikel, den wir Anfang des Jahres über die Wirkungsweise von PTC518 geschrieben haben.

Bei PIVOT-HD handelt es sich um eine Phase-2-Studie, in der neben einer Placebo-Kontrolle zwei verschiedene Dosierungen von PTC518 getestet werden, mit der Option auf eine dritte Dosis je nach den Ergebnissen. Die Studie wird insgesamt 12 Monate dauern, mit einer dreimonatigen Dosisfindungsphase zu Beginn, gefolgt von einem neunmonatigen Zeitraum, in dem Blut, Rückenmarksflüssigkeit und andere Messungen bei den Teilnehmern durchgeführt werden, um zu sehen, wie sie auf das Medikament ansprechen.

Was besagt die Aktualisierung?

Am 18. Oktober veröffentlichte PTC eine Bekanntmachung, in der bestätigt wurde, dass die Einschreibung für die Studie aktiv ist und fortgesetzt wird. In der Mitteilung wurde auch bestätigt, dass die Studie sowohl von den europäischen als auch von den australischen Behörden genehmigt wurde und wie geplant fortgesetzt werden kann.

Obwohl die Rekrutierung für die Studie in den USA bereits begonnen hatte, wurde diese nun unterbrochen. PTC betonte in seiner Erklärung erneut, dass dies nicht auf schlechte Nebenwirkungen des Medikaments zurückzuführen ist. Der Grund für die Unterbrechung ist, dass die wichtigste Arzneimittelzulassungsbehörde in den USA, die FDA, von PTC zusätzliche Daten verlangt hat, damit die Studie in den USA wie geplant fortgesetzt werden kann.

Weitere Einzelheiten zum Rekrutierungsstopp in den USA

In einem von der Huntington's Disease Society of America veranstalteten Webinar am 2. November erläuterte Dr. Matthew Klein, Chief Operating Officer von PTC, die Gründe für das gelbe Licht der FDA. Zunächst erläuterte er, dass der Zeitraum, in dem ein Medikament an Menschen getestet werden kann, in der Regel dem Zeitraum entsprechen muss, der in Tierversuchen getestet wurde. Wenn ein Unternehmen ein Medikament neun Monate oder länger am Menschen testen will, muss es das Medikament mindestens neun Monate lang an Tieren getestet haben, und zwar in Dosierungen, die der Studie am Menschen entsprechen.

Als PTC mit der PIVOT-HD-Studie begann, lagen drei Monate lang vielversprechende Daten im Tierversuch vor, die es dem Unternehmen ermöglichten, eine dreimonatige Studie am Menschen zu beginnen. In der Zwischenzeit wussten sie, dass sie die Ergebnisse ihrer 9-monatigen Studie an Tieren erhalten würden, so dass sie eine Verlängerung der Studie auf ein Jahr an Menschen beantragen konnten. Als die Ergebnisse dieser längeren Tierstudien vorlagen, waren die Sicherheits- und Dosierungsdaten weiterhin ermutigend, so dass sie bei den Zulassungsbehörden, wie der FDA in den USA und der EMA in Europa, eine Verlängerung der Studie am Menschen beantragten.

Während die Behörden in mehreren Ländern (z. B. in Australien, dem Vereinigten Königreich, Deutschland und den Niederlanden) die längere Studie genehmigten, erklärte die FDA in den USA, dass sie vor einer Verlängerung der Studie am Menschen weitere Daten an Tieren sehen möchte. Welche Daten genau angefordert wurden, ist in diesem Stadium nicht öffentlich bekannt. Zurzeit arbeitet PTC mit der FDA zusammen, um die Dinge in den USA voranzutreiben, während sich die Bemühungen auf die Aufnahme der Studie an aktiven Standorten in anderen Ländern konzentrieren.

Was bedeutet dies für die klinische Studie PIVOT-HD?

Für die Studienzentren außerhalb der USA wird alles wie geplant für PIVOT-HD weiterlaufen. Soweit wir wissen, wird die Studie auch in den USA wie geplant fortgesetzt, sobald PTC die neuen, von der FDA festgelegten Kriterien erfüllt.

Vielleicht haben Sie gesehen, dass in einigen Blogs und auf Pharmanachrichtenseiten unterschiedliche Meinungen darüber geäußert wurden, was dies für die Zukunft von PTC518 als Mittel zur Behandlung von Huntington bedeutet. Leider beruhen einige dieser Artikel nicht auf Fakten, sondern sind stattdessen sehr spekulativ.

Es ist wichtig, sich daran zu erinnern, dass es die Aufgabe der FDA ist, sicherzustellen, dass klinische Studien sicher, ethisch und wissenschaftlich fundiert sind. Es ist nicht ungewöhnlich, dass die FDA vor der Durchführung von Studien zusätzliche Daten anfordert, denn ihre Aufgabe ist es, im besten Interesse der Studienteilnehmer zu arbeiten.

Wann werden wir mehr wissen?

Das nächste geplante Update von PTC Therapeutics zu dieser Studie wird in der ersten Hälfte des Jahres 2023 erfolgen, wenn wir erfahren werden, was die ersten 12 Wochen der Studie ergeben haben. Wir gehen auch davon aus, dass PTC Therapeutics die Öffentlichkeit informieren wird, sobald die Rekrutierung in den USA weitergehen kann.

Sobald es ein Update gibt, wird HDBuzz wieder schreiben, um die HD-Gemeinde auf dem Laufenden zu halten.

Die Autoren haben keine Interessenskonflikte offenzulegen. [Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...](#)

GLOSSAR

Klinische Studie Sehr sorgfältig geplante Experimente werden erstellt, um spezifische Fragen darüber zu beantworten, wie ein Medikament sich auf den Menschen auswirkt.

Placebo Ein Placebo ist ein Scheinmedikament, das keine Wirkstoffe enthält. Der Placeboeffekt ist ein psychologischer Effekt, der verursacht, dass sich Menschen besser fühlen, auch wenn sie eine Tablette einnehmen, die nicht 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

Erstellt am 16. Mai 2025 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/336>