



Novità dalla ricerca sulla Malattia di Huntington

In un linguaggio semplice. Scritto da ricercatori.

Per la comunità mondiale MH.

[Notizie](#) [Glossario](#) [A proposito di](#)  
[A proposito di](#)

[Persone](#) [FAQ](#) [Aspetti legali](#) [Finanziamento](#) [Condivisione](#) [Statistiche](#) [Argomenti](#) [Contattaci](#)

[Segui](#)

[Segui](#)

[Twitter](#) [Facebook](#) [Feed](#) [RSS](#) [E-mail](#)

[Cerca in HDBuzz](#)



Cerca in HDBuzz



[italiano](#)



[italiano](#) [čeština](#) [dansk](#) [Deutsch](#) [English](#) [español](#) [français](#) [italiano](#) [Nederlands](#) [norsk](#) [polski](#) [português](#) [svenska](#) [русский](#)

[中文](#) [其他语言](#)

[Altre informazioni.....](#)



**Stai cercando il nostro logo?** Puoi scaricare il nostro logo anche ottenere l'informazione su come di usarlo alla nostra [pagina di condivisione](#).

## Domande più frequenti alla Società Americana della Malattia di Huntington (HDSA) sul programma RG6042 di Roche/Genentech

la sintesi delle risposte alle domande più frequenti della HDSA sul programma di riduzione dell' huntingtina era così completa che l'abbiamo rubata (con permesso)



Di [Leora Fox](#) 06 dicembre 2018 A cura di [Dr Ed Wild](#) Tradotto da [Dr Ettore A. Accolla](#)  
Articolo pubblicato per la prima volta 18 ottobre 2018

Mercoledì 26 Settembre, l'Associazione Americana Huntington (Huntington Disease Society of America, HDSA) ha ospitato un webinar (seminario web, NdT) presentato da Genentech/Roche durante il quale i rappresentanti del loro team Huntington hanno comunicato più dettagli e risposto alle domande riguardo agli studi clinici Genentech/Roche prossimi venturi. Qui di seguito gli scienziati della HDSA, guidati da Genentech/Roche, hanno provato a rispondere alle domande più frequenti.

# Quali sono i due trials clinici condotti da Genentech/Roche contro la Malattia di Huntington (MH)?

**\*\* Potete spiegarmi le basi dello studio GENERATION HD1 che testerà il farmaco riducente i livelli di huntintina RG6042? \*\***

\*Lo studio pianificato GENERATION HD1 sarà un ampio studio di Fase 3 per testare se il trattamento Genentech/Roche di riduzione dell'huntintina RG6042 (precedentemente chiamato IONIS-Htt-Rx) è sicuro ed efficace nella MH. Si tratterà di visite cliniche mensili per una durata di 25 mesi, durante ognuna delle quali una puntura lombare e altri tests verranno effettuati.

- 660 persone di età 25-65 con MH manifesta saranno reclutati. 220 riceveranno un [placebo](#) ogni mese, 220 RG6042 ogni mese, e 220 riceveranno RG6042 ogni due mesi con un [placebo](#) a mesi alterni.

\*Al completamento dello studio, il piano (se approvato dalle autorità sanitarie) è di offrire ai partecipanti eleggibili di ogni gruppo la scelta di ricevere RG6042 ogni mese o ogni due mesi (questo è conosciuto come uno studio Open Label di estensione).

## **E che potete dirci dell'altro studio, che non testa l' [efficacia](#) di un farmaco - lo Studio Storia Naturale della MH?**

- Lo studio Storia Naturale della MH non implica un trattamento farmacologico. Studierà le persone con una MH sintomatica in stadio iniziale, valutandone i sintomi e misurandone i livelli di huntintina nel tempo. Durerà per 16 mesi ed includerà uno screening iniziale, 4 visite cliniche con puntura lombare e altre misure (alla prima visita di baseline e ai mesi 3, 9, e 15), e 2 questionari telefonici (al mese 6 e 12).
- Circa 100 persone di età compresa fra 25 e 65 anni saranno reclutate.
- Al completamento dello studio, il piano (se approvato dalle autorità sanitarie) è quello di offrire ai partecipanti eleggibili che hanno completato lo studio la possibilità di cominciare a ricevere RG6042 (in uno studio Open Label di estensione).

## **Dove e quando avranno luogo questi studi?**

### **Dove sono gli ospedali? Farete i nomi?**

- Genetech/Roche ha dedicato molti mesi per identificare i centri clinici. Al 3 di Ottobre 2018, nessuno è stato ancora confermato, ma i primi annunci dovrebbero essere fatti prima della fine del 2018.

### **Quando cominceranno gli studi?**

- I primi siti ad essere approvati dovrebbero cominciare a reclutare alla fine del 2018 (per quanto riguarda lo studio Storia Naturale della MH) e inizio 2019 (per il GENERATION HD1).
- I diversi centri non cominceranno a reclutare allo stesso tempo, perché ci sono differenti processi regolatori in ogni singolo istituto. Tuttavia, la HDSA aggiornerà l'informazione su [www.hdtrialfinder.org](http://www.hdtrialfinder.org) a mano a mano che diventerà disponibile.
- La hotline di informazione sul trial Roche/Genentech è disponibile (negli Stati Uniti, ndT) e può essere contattata per più informazioni: (888) 662-6728 (Orari: Lunedì - Venerdì 5am - 5pm PT).

### **Quanti centri ci saranno negli Stati Uniti?**

- I centri non sono stati ancora approvati. Per lo studio Storia Naturale della MH, ci saranno fino a 17 centri negli U.S.A., Regno Unito, Germania, e Canada. Per lo studio GENERATION HD1 sono attesi fino a 80-90 centri nel mondo in circa 15 Paesi, inclusi gli Stati Uniti.

### **I centri negli USA sono tutti Centri di Eccellenza per la MH?**

- No, però alcuni lo saranno probabilmente, perché per partecipare le cliniche devono essere dei centri di ricerca capaci di effettuare tutte le procedure necessarie allo studio. Molteplici variabili determinano la scelta di un centro, e includono la previa esperienza con studi clinici sulla MH, l'infrastruttura presente, l'abilità nel rendere operativo lo studio nella maniera più rapida e completa possibile, la popolazione di pazienti, e la

localizzazione geografica. HDSA non ha alcuna influenza sulla selezione dei centri.

### **Può la mia clinica domandare di diventare un centro dello studio?**

- Genentech/Roche ha informato la HDSA che non sta cercando centri supplementari in questo momento, ma l'interesse può essere segnalato per futura considerazione. Contattate la Hotline allo (888) 662-6728 (Orari: Lunedì - Venerdì 5am - 5pm PT).

### **I pazienti inclusi dovranno vivere entro una certa distanza dal centro per poter partecipare?**

- Non c'è una distanza specifica menzionata, ma la difficoltà dello spostamento sarà probabilmente considerata durante lo screening. Un trasloco o un impegno a lungo termine potrebbero creare uno stress supplementare su un partecipante e i suoi familiari. Un tempo di viaggio eccessivo aumenta probabilmente anche il rischio di abbandonare lo studio, ciò che potrebbe diminuire le chances di successo dello studio GENERATION HD1 o Storia Naturale della MH. Gli studi clinici sono soggetti a regolamenti e leggi internazionali, nazionali e locali. Inoltre, fattori come politiche del singolo istituto, assicurazioni malattia, potrebbero compromettere la tua capacità di traslocare ed essere accettato in uno dei centri dello studio. I criteri di eleggibilità e inclusione sono infine decisi dall'investigatore responsabile dello studio in ogni centro, il quale considererà attentamente tutti questi fattori e potrebbe desiderare parlare con te o con il tuo specialista locale della MH per ottenere più informazioni.

## **Quali sono le obbligazioni e le procedure che saranno effettuate in questi studi?**

### **Quanto durano le visite e cosa implicano? Si potrebbe per esempio saltare una visita, o abbandonare lo studio?**

- I partecipanti devono essere capaci di dedicare una giornata intera al mese per lo studio, per 25 mesi nello studio pianificato di fase 3 GENERATION HD1.
- Per lo studio Storia Naturale della MH, i partecipanti devono impegnarsi ad effettuare 4 visite in clinica durante le quali delle punture lombari e altri esami saranno effettuati (all'inizio dello studio e ai mesi 3, 9 e 15), e a due interviste telefoniche (al mese 6 e 12).
- Devono essere capaci di tollerare una puntura lombare e prelievi di sangue, di effettuare una [risonanza magnetica](#) (non devono avere claustrofobia o resti metallici nel corpo), e essere capaci di completare interviste e questionari.
- per essere certi che lo studio sia completato in maniera efficiente e che produca risultati accurati, è molto importante che tutti quelli che considerano la partecipazione decidano con attenzione e che si impegnino in maniera completa ad ogni visita dello studio.
- Nonostante ciò, tutti i partecipanti alla ricerca hanno il diritto di ritirare il loro consenso e di lasciare lo studio in ogni momento.

### **A che interventi devo attendermi durante questi studi?**

- Puntura Lombare: del liquido è ritirato/iniettato con un ago nella parte inferiore della colonna vertebrale
- Analisi del sangue per misurare lo stato di salute e markers della MH
- Esami obiettivi (cuore, orecchie, naso, gola, pelle, funzione muscolare)
- Segni vitali (frequenza cardiaca, temperatura, pressione arteriosa, respirazione)
- Questionari sulle attività della vita di ogni giorno, sulle funzioni e sugli stati mentali (un accompagnatore potrà anche rispondere ad alcune di queste domande)
- Elettrocardiogrammi (una misurazione indolore dell'attività elettrica cerebrale)
- Esame neurologico (stato mentale, sensi, motricità, riflessi)
- Risonanze magnetiche cerebrali (RM)
- Tecnologie indossabili (smartphones, strumenti portabili al polso) per misurare i segni della MH

### **Quali sono i rischi potenziali dello studio, e come saranno gestiti il dolore e le scomodità?**

- Siccome RG6042 è un farmaco di studio, la sua sicurezza è in corso di studio
- Lo studio impone un impegno di tempo importante. I partecipanti dovranno dedicare approssimativamente un giorno intero del loro tempo per venire ad ogni visita dello studio.
- Le punture lombari possono causare dolore nella schiena, o effetti indesiderati come mal di testa moderato o severo in seguito. La sicurezza sul lungo termine di punture lombari ripetute è anche qualcosa che deve essere studiato più a fondo.
- Alcuni test ed esami possono essere un po' scomodi, stancanti, tediosi, o stressanti. Essere esaminati, studiati, intervistati ogni mese rappresenta molto lavoro da parte del volontario. Le risonanze magnetiche sono rumorose, e i test cognitivi possono indurre frustrazione o confusione.
- Tutti i partecipanti saranno monitorati attentamente per individuare qualsiasi effetto indesiderato, compresi dolore e fastidio. Nel precedente studio di sicurezza per questo farmaco, l'effetto collaterale più frequente era il dolore dovuto alla procedura. Un mal di testa sopravveniva dopo circa il 10% delle punture lombari. Non è stato osservato nessun evento indesiderato grave nelle persone che hanno ricevuto RG6042. Il profilo di sicurezza e tollerabilità del farmaco durante questo primo studio ha fornito gli elementi per supportare la continuazione del progetto di ricerca clinica di RG6042.

## Domande sui criteri di inclusione

### I criteri di inclusione sono gli stessi per entrambi gli studi?

- No, non tutti i criteri sono gli stessi per i due studi.
- Per esempio, lo studio Storia Naturale includerà persone con MH agli stadi sintomatici iniziali (Stadio I o II definiti come punteggio di capacità funzionale totale di 7-13).
- Lo studio di Fase 3 GENERATION-HD1 includerà persone con MH clinicamente manifesta. Ciò viene definito come un punteggio CAP di >400, una scala di indipendenza  $\geq 70$ , e che possano camminare soli e parlare.
- I criteri di eleggibilità per entrambi gli studi saranno disponibili su [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov) o su [www.hdtrialfinder.org](http://www.hdtrialfinder.org).

### Per ciò che riguarda i criteri di inclusione dello studio di Fase 3 GENERATION HD1, cos'è la scala di Indipendenza? Cosa significa un punteggio di 70?

- La scala di indipendenza è una misura dell'indipendenza del partecipante. È un punteggio compreso fra 0 e 100 laddove 0 indica una persona che necessita di cure costanti, e 100 che nessun aiuto è necessario. Un punteggio di 70 significa: la persona può lavarsi da sola, può effettuare alcune attività domestiche (cucinare, utilizzare coltelli), non può più guidare, è incapace di amministrare le finanze.

### Che criteri di età verranno considerati per lo studio Storia Naturale e lo studio di Fase 3 GENERATION HD1?

- Per entrambi gli studi, i partecipanti devono avere fra 25 e 65 anni all'inizio dello studio.

### cos'è un punteggio CAP, e quale punteggio verrà considerato per la Fase 3 dello studio GENERATION HD1?

- CAP sta per CAG Age Product, ed è una formula matematica molto semplice, che può essere utilizzata in parte per stimare l'età di inizio della malattia, sulla base di quanto tempo hanno vissuto con la loro mutazione genetica.
- $\text{Punteggio CAP} = (\text{lunghezza della ripetizione CAG} - 33.66) \times \text{età all'inizio dello studio}$ .
- I Partecipanti devono avere uno score CAP maggiore di 400.
- **\*\* Esempio.\*\*** Una persona con 44 ripetizioni che ha 39 anni  $(44 - 33.66) \times 39 = 403.26$ . Questa persona potrebbe essere inclusa.
- **Esempio.** Una persona con 40 ripetizioni che ha 60 anni,  $(40 - 33.66) \times 60 = 380.4$ . Questa persona NON sarebbe inclusa.

### Quali condizioni pre-esistenti saranno un impedimento all'inclusione nello studio di fase 3?

- In generale, i partecipanti devono avere una condizione medica, psichiatrica, e neurologica stabile per almeno 12 settimane prima dello screening e al momento dell'inclusione. Questo significa che questo tipo di

sintomi deve essere stabile e sotto controllo, senza necessitare consultazioni alle urgenze o aggiustamenti terapeutici maggiori, e senza diminuire la capacità della persona di partecipare allo studio. Persone con condizioni mediche complesse che potrebbero interferire con la loro capacità di completare lo studio saranno escluse. Pazienti con qualsiasi condizione medica che possa influenzare i risultati dello studio (es. emicrania cronica) saranno ugualmente esclusi. Altri criteri di inclusione saranno a disposizione su [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) o [www.hdtrialfinder.org](http://www.hdtrialfinder.org).

### **I partecipanti potranno continuare la loro terapia durante lo studio (es., antidepressivi, tetrabenazina, etc...)?**

- In generale, i partecipanti potranno continuare l'utilizzo di farmaci come la tetrabenazina/deutetrabenazina, i neurolettici, gli antidepressivi e gli ansiolitici, se la loro dose è rimasta invariata nelle 12 settimane precedenti l'inizio dello studio. Vi sono tuttavia alcune eccezioni, come la memantina, l'amantadina, il riluzolo, che potrebbero avere effetti cognitivi (capacità di processare l'informazione), e certi anticoagulanti.
- Questi criteri riguardo al trattamento abituale di ogni paziente sono stati stabiliti per salvaguardare la capacità di questo studio di misurare gli effetti del RG6042 senza l'influenza di altri farmaci. Più informazioni sullo studio, compresi tutti i criteri di inclusione ed esclusione saranno pubblicati su [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) e condivisi con i professionisti che si occupano di MH. Vi incoraggiamo a discutere con il vostro specialista MH su quale possa essere la scelta migliore nella vostra situazione specifica.

### **Devo essere in uno studio [osservazionale](#) come ENROLL-HD per partecipare?**

- E' permesso di essere inclusi in altri studi osservazionali come ENROLL-HD, HDClarity, PREDICT-HD, o qualsiasi altro studio [osservazionale](#), ma non è necessario per la partecipazione.

### **E se ho partecipato a uno studio precedente su un farmaco sperimentale?**

- La previa partecipazione a un altro trial clinico normalmente non è un criterio di esclusione, ma alcune situazioni potrebbero esserlo. Per esempio, un trattamento previo o corrente con un oligonucleotide antisense non sarà permesso. Inoltre, se qualcuno ha ricevuto un previo trattamento con un farmaco di studio che ha effetti duraturi, la partecipazione non sarà permessa a meno che sufficiente tempo sia passato per essere sicuri che il farmaco è completamente fuori dal corpo. Una partecipazione ad un altro studio interventzionale, sia farmacologico che non farmacologico, non sarà ammessa. Tuttavia, la partecipazione ad altri studi osservazionali, come l' ENROLL-HD, è permessa. Informazioni supplementari sullo studio compresi i criteri di inclusione ed esclusione saranno pubblicati su [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) e condivisi con gli specialisti della MH. Vi incoraggiamo a discutere con il vostro specialista MH su quale possa essere la scelta migliore nella vostra situazione specifica.

### **E' necessario avere un accompagnatore o un partner per partecipare a tutte le visite?**

- E' incoraggiato ma non richiesto che i partecipanti conoscano qualcuno (membro della famiglia o amico) che possa svolgere il ruolo di accompagnatore. Si tratterebbe di qualcuno in grado di essere presente agli appuntamenti, che il paziente frequenti regolarmente, e che possa firmare un protocollo di consenso informato per partecipare allo studio rispondendo a questionari e offrendo supporto.

### **Come posso partecipare, o come sono scelti i partecipanti? C'è una lotteria, o posso iscrivermi tramite la HDSA?**

- Gli studi di ricerca possono reclutare tramite rapporti già esistenti fra medico e paziente, normalmente nei centri che conducono la ricerca, o tramite domanda di un sito nelle vicinanze. Parlare con il tuo medico specialista è il miglior punto di inizio.
- Non c'è un sistema tipo lotteria e non c'è alcuna lista in cui iscriversi. La HDSA non ha alcuna influenza sull'inclusione dei partecipanti, e non c'è alcuna garanzia per nessuno di poter partecipare. Ci saranno molte più persone che desiderano partecipare che "posti" a disposizione, ma questo significa che lo studio potrà avanzare più speditamente.

### **E' necessario che io sia in un Centro di Eccellenza o che il mio medico partecipi allo studio?**

- Non è necessario essere in un Centro di Eccellenza, ma normalmente le cliniche con un interesse di ricerca hanno più chances di essere selezionate per partecipare. Vedi la sezione "Dove e Quando" per più informazioni.

*Perchè la partecipazione allo studio di fase 3 GENERATION HD1 è limitato a persone fra i 25 e i 65 anni e con un punteggio CAP di 400?\**

- Roche/Genentech ha scelto di studiare persone nelle fasi iniziali della MH perchè volevano un gruppo sul

quale gli effetti di un'eventuale terapia potessero osservarsi con maggiore probabilità. Persone con una MH e con elevati livelli di indipendenza (misurata dalla Scala di Indipendenza) sono stati scelti perchè hanno più chances di terminare lo studio di 2 anni. Hanno specificato il livello di severità della malattia nella popolazione dello studio usando il CAP, un modo per misurare la tossicità della huntintina mutante nel tempo. Persone con MH e CAP > 400 progrediscono più rapidamente in specifici aspetti della malattia, come la scala TFC, e quindi sarà più facile in questo gruppo osservare che il farmaco abbia rallentato la malattia.

- Genentech/Roche e tutti quelli implicati in questo studio riconoscono che ovviamente queste misure variano da individuo a individuo. Tuttavia, gli studi di ricerca necessitano di criteri fissi come questi, e non si può derogare alle regole.

### **Perchè non includete persone portatrici del gene MH che non hanno ancora sviluppato sintomi (portatori asintomatici)? Perchè non includete persone con sintomi più avanzati?**

- Genentech/Roche è bene al corrente del fatto che la MH produce sintomi di severità variabile su di un continuum, dal portatore asintomatico del gene, a individui con esordio giovanile, fino ai sintomi degli stadi più avanzati, o a pazienti ad esordio dopo i 65 anni. Si stanno focalizzando tuttavia sugli stadi iniziali sintomatici perchè vogliono condurre questo primo importante studio in persone che abbiano sintomi misurabili, ma che siano in stadi sufficientemente iniziali da poter mostrare i benefici eventuali della terapia. Per altro esiste un precedente studio di sicurezza a partire dal quale questo studio di [efficacia](#) è stato impostato.

**\*\*Sono più anziano di 65 anni, in salute, e ho un CAP score corrispondente ai criteri di inclusione. Potrei essere considerato per l'inclusione?**

- Purtroppo, no. Il limite superiore di questo studio è 65. Vedi sopra per una spiegazione.

**Sono più giovane di 25 anni, e ho uno score CAP corrispondente ai criteri di inclusione. Potrei essere considerato per l'inclusione?**

- Purtroppo, no. Il limite inferiore di questo studio è 25. Vedi sopra per una spiegazione.

**Non ho un CAP score corrispondente ai criteri di inclusione ma la mia età è fra i 25 e i 65. Potrei essere considerato per l'inclusione nello studio?**

- Purtroppo, no. Lo score CAP di un partecipante deve essere sopra i 400 quando si inizia lo studio. Vedi sopra per una spiegazione.

**Posso cominciare lo studio all'età di 65 anni, anche se ne avrò 67 alla fine dello studio?**

- Sì, l'età che conta è quella alla data di inclusione.

**\*\*Posso cominciare lo studio all'età di 24 anni, visto che compirò 25 anni durante lo studio?**

- Purtroppo, no. L'età minima è quella di 25 anni. Se lo studio sta ancora reclutando partecipanti quando una persona compie i 25 anni, questa diventerà eleggibile.

**Non sono (o il mio caro non è) eleggibile. Che succede alle persone che non soddisfano i criteri di inclusione?**

- In questo momento, il design e i criteri di inclusione non sono flessibili.
- Genentech/Roche non ignora le necessità delle persone che non riempiono i criteri di età o altro. Il team esplorerà RG6042 in altri gruppi di pazienti se ci saranno sufficienti motivazioni scientifiche o garanzie di sicurezza.

## **Domande sull' Approvazione e Disponibilità del Farmaco**

**Pensate che RG6042 sarebbe disponibile per una popolazione più estesa, se dovesse essere approvato? Per esempio, soggetti presintomatici, persone con malattia avanzata, o [MH giovanile](#)?**

- Genentech/Roche riconosce il bisogno critico di un trattamento per la MH, specialmente per le persone che vivono con forme severe come la MH a esordio precoce. In questo momento non ci sono studi clinici pianificati che non siano i tre nella MH manifesta e manifesta agli stadi iniziali (Fase I/IIa OLE, [osservazionale](#) Storia Naturale della MH, [Fase III](#) GENERATION HD1), ma il team esplorerà RG6042 in altri gruppi di popolazione se

ci sono sufficienti motivazioni scientifiche e di sicurezza.

### **Come definirete l'[efficacia](#) - come sapremo se RG6042 funziona?**

- L'outcome primario (il principale cambiamento sintomatico che sarà studiato) nello studio GENERATION- HD1 negli Stati Uniti è un cambiamento significativo nella Capacità Funzionale Totale delle persone che ricevono RG6042 rispetto al [placebo](#). La Capacità Funzionale Totale è una misura di come le persone funzionano nella vita di tutti i giorni. Molte altre misure saranno esaminate, come la [risonanza magnetica](#), esame neurologico e capacità di movimento, e livelli della proteina huntintina. Lo studio esaminerà anche se il farmaco è sicuro nel lungo periodo.

### **Potrebbe succedere che lo studio venga interrotto precocemente e il farmaco approvato se funziona particolarmente bene? Quando ci sarà una prima analisi?**

- E' assolutamente prematura l'idea che si possa intraprendere un processo di approvazione accelerata. Roche/Genentech è pienamente impegnata nell'esecuzione e nel completamento dello studio ormai aperto (open-label) di estensione di Fase 1 / 2, lo studio Storia Naturale MH, e lo studio pivot di [Fase III](#) GENERATION HD1.

### **Quanto tempo occorrerà per reclutare le 660 persone per lo studio? Adatterete i criteri di inclusione o reimposterete lo studio se non riuscirete a trovarne a sufficienza?**

- Ci sono moltissime variabili da gestire per ogni centro e per ogni paziente. Non tutti i centri cominceranno allo stesso tempo, e non tutte le 660 persone saranno in grado di cominciare allo stesso tempo. E' difficile da prevedere, ma prenderà sicuramente un certo tempo per reclutare interamente, e lo studio sarà dichiarato ufficialmente concluso unicamente quando tutti i partecipanti avranno completato i 25 mesi di visite cliniche.
- Ci sono di gran lunga più pazienti eleggibili e che desiderano partecipare di quelli che potranno effettivamente essere inclusi, quindi il reclutamento non sarà probabilmente un problema. Mesi ed anni di discussioni fra esperti hanno dato forma allo studio attuale, quindi cambiamenti sono molto improbabili.

### **Quando avremo i primi risultati dello studio di Fase 3? Se questo farmaco funziona, che succede poi?**

- E' molto difficile di prevedere i risultati e le tempistiche di un ampio studio internazionale. Abbiamo grandi speranze che lo studio possa essere completato il più presto possibile, ma non ci sono garanzie sui tempi.
- Se i risultati sono promettenti, l'approvazione dovrà passare dalle autorità di regolazione sanitaria. Considerando il pressante bisogno della comunità MH, e la novità di una terapia genetica, speriamo che questo processo possa avanzare il più speditamente possibile. Ma di nuovo, questo è difficile da prevedere.

### **RG6042 sarà disponibile attraverso programmi di utilizzo compassionevole (negli U.S.A., i programmi "Right to Try" e "Compassionate Use", ndT)**

- In questo momento, la sicurezza e l'[efficacia](#) non sono conosciuti pienamente, e quindi l'accesso al farmaco è possibile unicamente tramite un trial clinico. Nonostante Roche/Genentech riconosca i bisogni della comunità, si tratta di un farmaco sperimentale e nuovo, la cui sicurezza ed [efficacia](#) devono essere comprovate da ricerca clinica appropriata prima di renderla più estesamente disponibile.

### **Quanto costerà RG6042?**

- Questa domanda verrà considerata con attenzione da Genentech/Roche, ma non è possibile dare una risposta a questo punto. Il trial testerà proprio se RG6042 è sicuro e se può aiutare i pazienti. Genentech/Roche non ha alcun interesse a mettere sul mercato un farmaco fuori dalla portata di coloro che ne hanno bisogno.

Gli autori non hanno conflitti di interesse da dichiarare [Per ottenere più della informazione riguarda la nostra norma di divulgazione, leggi il nostro FAQ...](#)



Argomenti

[in evidenza](#) [esseri umani](#) [Silenziamento genico](#) [abbassamento dell'huntingtina](#)

[Ancora.....](#)

Articoli collegati

## [D&R sull'ultimo comunicato di Ionis e Roche sul trattamento di diminuzione dell'huntingtina](#)

**05 settembre 2018**

## [Nuovo strumento per la misura degli outcome nei trial clinici per la malattia di Huntington](#)

**13 settembre 2015**

## [Variazioni nel gene della MH influenzano l'esordio dei sintomi](#)

**01 giugno 2015**

[Prima](#)

- Glossario
- **Risonanza magnetica** Una tecnica che utilizza potenti campi magnetici per produrre immagini dettagliate del cervello negli esseri umani e animali
- **Osservazionale** Uno studio in cui le misurazioni sono fatte su volontari ma non é somministrato alcun farmaco sperimentale o trattamento
- **MH giovanile** Malattia di Huntington i cui sintomi compaiono prima dei 20 anni.
- **efficacia** Una misura indicante se un farmaco funziona o no
- **fase III** Fase di sviluppo di un nuovo trattamento in cui studi clinici sono condotti utilizzando molti pazienti, per determinare se il trattamento è efficace
- **Placebo** Un placebo è un farmaco fittizio che non contiene principi attivi. L'effetto placebo è un effetto psicologico che induce la gente a sentirsi meglio, anche se sta prendendo una pillola che non funziona.
- **HTT** Una abbreviazione per il gene che causa la malattia di Huntington. Lo stesso gene é chiamato HD e IT-15
- [Leggi più delle definizioni nel glossario.](#)

Novità dalla ricerca sulla Malattia di Huntington

In un linguaggio semplice. Scritto da ricercatori.

Per la comunità mondiale MH.

## **HDBuzz**

[Notizie](#)

[Ha dato risalto precedentemente](#)

[A proposito di](#)

[Partner finanziatori di HDBuzz](#)

[Siti che citano i contenuti di HDBuzz](#)

[\\*\\*new\\_to\\_research\\*\\*](#)



# Persone

[\\*\\*meet\\_the\\_team\\*\\*](#)

[\\*\\*help\\_us\\_translate\\*\\*](#)

## Segui HDBuzz

Iscriviti ai nostri riassunti mensili via e-mail inserendo il tuo indirizzo e-mail qui sotto o visiona altre opzioni sulla nostra [pagina della mailing list](#)

<input type="text" value="Lasciare vuoto"/>	<input type="text" value="Indirizzo e-mail"/>	<input type="button" value="Segui"/>
---	---	--------------------------------------



© HDBuzz 2011-2019. Il contenuto di HDBuzz è condivisibile sotto [Creative Commons License](#).

HDBuzz non è una fonte di consigli medici. Si prega di consultare i nostri [Termini di uso](#) per tutti i dettagli.

© HDBuzz 2011-2019. Il contenuto di HDBuzz è condivisibile sotto Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz non è una fonte di consigli medici. Ulteriori informazioni disponibili a [hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

Creato al 17 aprile 2019 — Scaricato da <https://it.hdbuzz.net/265>

Alcune parti di testo in questa pagina non sono ancora state tradotte. Sono mostrate in lingua originale. Stiamo lavorando per tradurre tutti i contenuti prima possibile.