



# HDSA's vragen & antwoorden over de laatste huntingtine-verlagende update van Ionis en Roche

Onze vrienden van @hdsa hebben deze geweldige Q&A gemaakt over het laatste huntingtine-verlagende nieuws.

Geschreven door [Dr Leora Fox](#)

3 januari 2019

Bewerkt door [Dr Jeff Carroll](#)

Vertaald door [Marit Mentink](#)

Origineel gepubliceerd op 26 april 2018

---

**E**erder deze week publiceerde Ionis Pharmaceuticals een persbericht na het presenteren van gegevens uit het HTTRx (RG6042) Huntingtine-verlagende klinisch onderzoeksprogramma op een wetenschappelijke conferentie. Ook Ionis' partner Roche heeft een verklaring aan de gemeenschap vrijgegeven. Onze contactpersoon bij de Huntington's Disease Society of America, dr. Leora Fox, heeft deze vragen & antwoorden voorbereid als reплиek op vragen die de HDSA van haar leden heeft ontvangen. We vonden het zinvol deze vragen en antwoorden hier te reproduceren ten behoeve van de HDBuzz-lezers, met vriendelijke toestemming van de auteur.

## Wat stond er in de verklaring?

Hoofdzakelijk werd herhaald wat we al weten: het medicijn is veilig, en het verlaagt de niveaus van huntingtine, het eiwit dat hersencellen beschadigt in de ZvH. De nieuwste informatie, gepresenteerd op 24 april, is dat over het algemeen deelnemers met lagere huntingtine niveaus ook een beetje beter presteerden op klinische onderzoeken die symptomen van de ZvH testten. Het onderzoek was echter alleen bedoeld om zeker te zijn van de veiligheid, niet van de werkzaamheid, dus er moet nog een groter onderzoek worden uitgevoerd.

## Dus zeggen ze dat het medicijn werkt?

Het is niet mogelijk om die conclusie nu te trekken. Alles wat we weten is dat het medicijn veilig is en dat het genetische doelwit waar het medicijn voor ontworpen was geraakt is. De klinische bevindingen die door Ionis worden gedeeld, zijn verkennend: bij het onderzoek waren in totaal 46 deelnemers betrokken, wat niet genoeg is om er zeker van te zijn dat het kan helpen bij de symptomen. Hoewel de algemene conclusies veelbelovend zijn, hebben de statistieken nog geen klinisch voordeel aangetoond.

# **Wat komt hierna? Verandert deze kennis iets voor het vervolg?**

Nee. Ionis geeft de fakkel door aan Roche Pharmaceuticals, een groter bedrijf dat heeft geïnvesteerd in de ZvH-gemeenschap. In de Verenigde Staten wordt het bedrijf Genentech genoemd. Er is een ervaren internationaal team samengesteld, dat zich bezighoudt met de planning en coördinatie van een wereldwijde Fase 3 klinische studie. Je kunt hun meest recente bericht voor de gemeenschap hier lezen. In de tussentijd blijven we redelijk optimistisch omdat de analyse van de Fase 1/2 data nog steeds veelbelovende resultaten laat zien. We zijn ook erg blij dat deze resultaten worden belicht tijdens internationale onderzoeksconferenties. Dit zal een positieve impact hebben op families doordat de ZvH wereldwijd meer aandacht zal krijgen van medische professionals.

# **Als het zo veelbelovend is, waarom dan het oponthoud?**

Ervoor zorgen dat geneesmiddelen veilig en effectief zijn, is een tijdrovend en sterk gereguleerd proces. Roche-Genentech heeft veel werk te doen, waaronder het zorgvuldig ontwerpen van het onderzoek, het identificeren van de medische teams en faciliteiten die zullen deelnemen, ervoor zorgen dat professionals zijn uitgerust en getraind om het medicijn toe te dienen, het medicijn zelf produceren, en het uitzoeken van financiering en regelgeving bij verschillende organisaties wereldwijd. Al deze stappen vereisen planning, papierwerk en geduld. Wees gerust, er zijn daar slimme, medelevende personen bij betrokken, ook ZvH-patiënten en families, die zich inspannen om dit medicijn zo snel mogelijk naar de kliniek te brengen.

# **Kan ik me aanmelden om deel te nemen aan het onderzoek, of mijn naam op een lijst zetten?**

Helaas niet. De manier waarop klinische onderzoeken gewoonlijk deelnemers werven, is via bestaande arts-patiëntrelaties, waarbij de arts beslist of een patiënt in aanmerking kan komen en een verwijzing doet. Dat is de reden waarom HDSA mensen [in de VS] aanmoedigt om een ZvH-expert te zien bij een HDSA Center of Excellence of een andere ZvH-kliniek met een onderzoeksinteresse en zich aan te sluiten bij [Enroll-HD](#).

Een massa kandidaten heeft zich gemeld om deel te nemen. Het onderzoek is nog niet in die fase, en HDSA heeft geen controle over enig aspect van het ontwerp, de deelname of de geschiktheid. Er zullen veel minder plekken zijn dan gewillige deelnemers, wat

begrijpelijkerwijs tot enige teleurstelling zal leiden. We moedigen mensen niet aan om een grote levensverandering (zoals verhuizen) te overwegen op basis van hun wens om deel te nemen aan een onderzoek.

We zijn echter enthousiast over de betrokkenheid van de gemeenschap en we zullen doorgaan met het verstrekken en interpreteren van nieuwe informatie die we horen.

Er kunnen ook andere onderzoeksmogelijkheden bij u in de buurt zijn - bekijk [HD Trialfinder](#) voor meer informatie.

## **Wat doet HDSA om het proces en de gemeenschap te ondersteunen?**

HDSA-medewerkers werken nauw samen met leden van het Roche-Genentech-team om ervoor te zorgen dat actuele en juiste informatie over het onderzoek met de gemeenschap wordt gedeeld zodra deze beschikbaar is. HDSA is ook een van de oprichters van de Huntington's Disease Coalition for Patient Engagement (HD-COPE), waardoor bedrijfsteams rechtstreeks contact kunnen leggen met patiënten en families. HD-COPE helpt bedrijven zoals Roche om ervoor te zorgen dat de onderzoeksplanning, metingen, en vereisten voor deelname, redelijk zijn voor de echte experts - mensen met de ZvH en hun geliefden.

Ten slotte blijven we onderzoeksdetails en contactinformatie leveren voor deelname aan open onderzoeken op HD Trialfinder. Omdat het komende onderzoek nog niet is begonnen, staat het daar nog niet vermeld.

## **Wanneer denk je dat dit medicijn beschikbaar zal zijn?**

Dat is buitengewoon moeilijk om te beantwoorden. Onderzoeken kunnen meerdere jaren duren, en aan dit onderzoek moet er veel zorg worden besteed, omdat het zo belangrijk en zo anders is dan medicijnen die alleen de symptomen van de ZvH aanpakken. We zouden graag kunnen zeggen dat er een concrete tijdlijn is, maar dit is onbekend terrein en we weten het simpelweg niet. De eerstvolgende stap is om te zien of het de symptomen kan verbeteren of de ZvH kan vertragen, en dat is de focus van de Fase 3-studie.

## **Wat kan ik nu doen?**

Zorg ervoor dat u regelmatig wordt gezien door een arts of team die ervaring heeft met de ZvH, met name een met onderzoeksinteresse (zoals een HDSA Center of Excellence of een universitaire ZvH-kliniek). Volg het nieuws op [HDBuzz](#), op de HDSA's wekelijkse [research blog](#), of op de sociale media-pagina's van HDSA. Bekijk [HD Trialfinder](#) voor onderzoeksmogelijkheden. Maar boven alles, zorg voor jezelf en de mensen om je heen!

In de strijd tegen de ZvH, is familie alles.

---

*De auteurs hebben geen belangenconflicten te verklaren. Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangenconflicten, zie FAQ...*

---

## **GLOSSARIUM**

**fase 3** De fase in de ontwikkeling van een nieuwe behandeling waar klinische onderzoeken worden uitgevoerd bij veel patiënten, om te bepalen of de behandeling effectief is.

---

© HDBuzz 2011-2022. De inhoud van HDBuzz mag vrij gedeeld worden met anderen, onder de Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz is geen bron van medisch advies. Voor meer informatie ga naar [hdbuzz.net](https://hdbuzz.net)

Gegenereerd op 17 januari 2022 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/258>