



Wetenschappelijk nieuws over de Ziekte van Huntington.

In eenvoudige taal. Geschreven door wetenschappers.

Voor de hele ZvH gemeenschap.

[Nieuws Glossarium Over HDBuzz](#)
[Over HDBuzz](#)

[Personen](#) [Veel Gestelde Vragen](#) [Legaal](#) [Sponsoring](#) [Delen](#) [Statistieken](#) [Onderwerpen](#) [Contact](#)

[Volg](#)

[Volg](#)

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

[Zoeken in HDBuzz](#)



Zoeken in HDBuzz



[Nederlands](#)

[Nederlands](#)

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

[中文](#) [中文](#)

[Meer informatie.....](#)

Bent u op zoek naar ons logo? U kunt ons logo downloaden en meer informatie over het gebruik van het logo verkrijgen op onze [deelpagina](#).

HDSA's meest gestelde vragen over het Roche/Genentech RG6042 programma

HDSA's meest gestelde vragen over het huntingtine verlagende ASO onderzoeksprogramma was zo goed, dat we ze hebben gestolen (met toestemming)



Geschreven door [Leora Fox](#) 7 februari 2019 Bewerkt door [Dr Ed Wild](#) Vertaald door [Marit Mentink](#) Origineel gepubliceerd op 18 oktober 2018

Op woensdag 26 september organiseerde HDSA een webinar door Genentech / Roche, waarbij vertegenwoordigers van het Ziekte van Huntington-team details verstrekten en vragen beantwoordden over aanstaande Genentech / Roche klinische onderzoeken naar de ZvH. HDSA heeft honderden vragen ontvangen vóór, tijdens en na de webinar. Hier hebben de stafwetenschappers van HDSA, onder begeleiding van Genentech / Roche, geprobeerd de meest gestelde vragen te beantwoorden.

Wat zijn de twee aanstaande Ziekte van

Huntington klinische onderzoeken die geleid worden door Genentech / Roche?

** Kun je me de basis vertellen over de geplande GENERATION-HD1-studie die het huntingtine-verlagende medicijn RG6042 gaat testen? **

- De geplande GENERATION-HD1 zal een groot Fase 3-onderzoek zijn om te testen of de huntingtine-verlagende therapie van Genentech / Roche RG6042 (voorheen IONIS-[Htt](#)-Rx) veilig en effectief is in de ZvH. Het betreft maandelijks kliniekbezoeken gedurende 25 maanden, met lumbaalpuncties (spinale aftapping) en andere beoordelingen bij elk bezoek.
- 660 mensen met een leeftijd tussen 25-65 jaar, met manifeste ZvH zullen worden gerekruteerd. 220 ontvangen elke maand een [placebo](#), 220 ontvangen elke maand RG 6042, en 220 krijgen elke tweede maand RG6042 en een [placebo](#) in de andere maanden.
- Na afronding van het onderzoek is het plan (indien goedgekeurd door gezondheidsinstanties) om geschikte deelnemers in alle groepen de keuze te bieden om RG6042 maandelijks of om de maand te ontvangen (dit staat bekend als een Open-Label vervolgonderzoek).

** Hoe zit het met het andere onderzoek dat geen medicijn test - het HD Natural History Study? **

- De HD Natural History Study omvat geen medicamenteuze behandeling. Het zal mensen met vroeg manifeste ZvH volgen door hun symptomen te testen en hun gemuteerde huntingtine-niveaus over de tijd te meten. Het duurt 16 maanden en omvat een eerste screening, 4 kliniekbezoeken met lumbale puncties en andere beoordelingen (bij baseline en bij de maanden 3, 9 en 15) en 2 telefonische controles (bij 6 en 12 maanden).
- Ongeveer 100 mensen tussen 25-65 jaar zullen worden gerekruteerd.
- Na afronding van de studie is het plan (indien goedgekeurd door gezondheidsinstanties) om geschikte deelnemers die de studie voltooien de keuze bieden om te beginnen met het ontvangen van RG6042 (dit staat bekend als een [Open Label](#) vervolgonderzoek).

Waar en wanneer vinden deze onderzoeken plaats?

** Waar zijn de klinieken? Wanneer worden de namen kenbaar gemaakt? **

- Genentech / Roche heeft vele maanden gewijd aan het identificeren van klinische locaties. Op 3 oktober 2018 zijn er nog geen namen bevestigd, maar de eerste aankondigingen zullen waarschijnlijk vóór het einde van 2018 plaatsvinden.

** Wanneer beginnen de onderzoeken? **

- De eerste locaties die goedgekeurd moeten worden, beginnen naar verwachting eind 2018 met rekruteren (voor de HD Natural History Study) en begin 2019 (voor GENERATION-HD1)
- De locaties zullen niet meteen in één keer beginnen met werven, omdat er voor elke individuele instelling verschillende goedkeuringsprocessen zijn. Echter, HDSA zal de informatie op www.hdtrialfinder.org bijwerken zodra deze beschikbaar komt.
- U kunt ook contact opnemen met de Genentech Trial Information Support Line voor meer informatie (888) 662-6728 (bereikbaarheid: maandag - vrijdag van 5:00 tot 17:00 uur)

** Hoeveel locaties zijn er in de VS? **

- Er zijn nog geen locaties goedgekeurd. Voor de HD Natural History Study zijn er maximaal 17 locaties in de VS, het VK, Duitsland en Canada. Voor de GENERATION HD1-studie zullen er naar verwachting wereldwijd 80-90 locaties zijn in ongeveer 15 landen, waaronder de VS.

** Zijn alle Amerikaanse sites HDSA Centres of Excellence? **

- Nee, maar sommige zullen dat waarschijnlijk wel zijn, omdat deelnemende klinieken onderzoekscentra moeten zijn die in staat zijn om alle procedures uit te voeren die bij het onderzoek betrokken zijn. Er zijn verschillende factoren die van invloed zijn op de selectie van de locatie, waaronder beoordeling van de

ervaring met klinische ZvH-studies, de capaciteit van de klinische infrastructuur om het onderzoek uit te voeren en gebruikelijke lokale activiteiten, het vermogen om het onderzoek zo snel en volledig mogelijk te operationaliseren, de patiëntenpopulatie en de geografische locatie. HDSA heeft geen controle over de selectie van de locatie voor deze onderzoeken.

**** Kan mijn kliniek zich aanmelden om een site te zijn? ****

- Genentech / Roche heeft HDSA laten weten dat zij op dit moment geen extra locaties zoekt, maar u kan interesse tonen om in de toekomst in aanmerking te komen. Neem contact op met de Genentech Trial Information Support Line op (888) 662-6728 (bereikbaarheid: maandag - vrijdag van 5:00 tot 17:00 uur).

**** Moeten patiënten binnen een bepaalde afstand van een onderzoekslocatie wonen om te kunnen deelnemen? ****

- Er is geen specifieke afstandsvereiste of verzorgingsgebied voor deze onderzoeken, maar de reisbelasting zal waarschijnlijk worden overwogen tijdens de screening. Een verhuizing of een lange reisafstand kan extra stress veroorzaken bij een deelnemer en zijn omgeving. Overmatig reizen maakt het ook waarschijnlijker dat iemand stopt met het onderzoek, wat het succes van GENERATION-HD1 of de HD Natural History Study zou kunnen belemmeren. Klinische studies zijn onderworpen aan internationale, nationale en lokale wet- en regelgeving. Daarnaast kunnen factoren zoals het beleid van de instelling en de ziektekostenverzekering van invloed zijn op uw kans om geaccepteerd te worden bij een van de onderzoekslocaties. Beslissingen over geschiktheid en deelname worden uiteindelijk genomen door de onderzoeker van elke locatie, die rekening houdt met al deze factoren en die mogelijk ook met u of uw lokale ZvH-specialist wil spreken voor meer informatie.

Welke verplichtingen en procedures zijn van toepassing tijdens deze onderzoeken?

**** Hoe lang duren de bezoeken en waar bestaan ze uit? Kan iemand een bezoek overslaan of het onderzoek verlaten? ****

- Gedurende de 25 maanden dat de GENERATION-HD1 fase normaal duurt moeten de deelnemers in staat zijn om elke maand een volledige dag in de kliniek te verblijven.
- Voor het HD Natural History onderzoek moeten deelnemers in staat zijn om 4 bezoeken aan de kliniek af te leggen, waarbij lumbaalpuncties en andere beoordelingen zullen worden uitgevoerd (aan het begin van het onderzoek en op maanden 3, 9 en 15), evenals 2 telefonische gesprekken (op 6 en 12 maanden).
- Ze moeten lumbaalpuncties en bloedafnames kunnen verdragen, MRI's kunnen ondergaan (geen claustrofobie of metaal in het lichaam) en in staat zijn om interviews te kunnen doen en vragenlijsten in te vullen.
- Om ervoor te zorgen dat de studie efficiënt wordt afgerond en nauwkeurige resultaten oplevert, is het erg belangrijk voor iedereen die overweegt om deel te nemen, om een zorgvuldige beslissing te nemen en het belang te onderkennen van de maandelijkse onderzoeksbezoeken waarop men dient aanwezig te zijn.
- Niettemin, alle onderzoeksdeelnemers hebben het recht om hun toestemming in te trekken en het onderzoek op elk moment te verlaten.

**** Welke procedures kan ik tijdens deze onderzoeken verwachten? ****

- Lumbaalpuncties (ruggenprik): vloeistof wordt verzameld/toegediend met een naald in de onderrug
- Bloedonderzoek om de gezondheid en markers van de ZvH te meten
- Fysieke examens (hart, oren, neus, keel, huid, spierfunctie)
- Vitale symptomen (hartslag, temp, bloeddruk, ademhaling)
- Vragenlijsten over het dagelijks leven, functionele en mentale toestanden (een studiepартner kan ook een aantal van deze antwoorden beantwoorden)
- Elektrocardiogrammen (een pijnloze meting van de elektrische activiteit van het hart)
- Neurologische onderzoeken (mentale status, zintuigen, beweging, reflexen)
- MRI-hersenscans

- Wearable technologieën (smartphones en polsapparatuur) om signalen van de ZvH te meten

**** Wat zijn de potentiële risico's van het onderzoek en zal worden omgegaan met pijn of ongemak? ****

- Aangezien RG6042 experimenteel geneesmiddel is, wordt de veiligheid van het geneesmiddel nog steeds getest
- Het onderzoek neemt veel tijd in beslag. Deelnemers moeten ongeveer een dag de tijd nemen voor elke afspraak in de kliniek.
- Het inbrengen van de naald tijdens lumbaalpuncties kan rugpijn veroorzaken, of bijwerkingen zoals lichte tot ernstige hoofdpijn achteraf. De langetermijn-veiligheid van chronische lumbaalpuncties is ook iets dat verder moet worden onderzocht.
- Sommige beoordelingen of tests kunnen ietwat oncomfortabel, vermoeiend, tijdrovend of stressvol zijn. Het is belastend om elke maand geprikt, geprikkeld en onderzocht te worden. MRI-scans maken veel geluid en cognitieve tests kunnen een beetje belastend of verwarrend zijn.
- Alle deelnemers zullen nauwlettend geobserveerd worden op alle bijwerkingen, inclusief pijn of ongemak. In de vorige veiligheidsstudie voor dit medicijn, was de meest voorkomende bijwerking pijn als gevolg van de procedure. Lumbaalpunctie-hoofdpijn trad op na ongeveer 10% van de lumbaalpuncties. Er waren geen ernstige bijwerkingen bij mensen die RG6042 kregen. De gegevens over veiligheid en verdraagbaarheid van het onderzoek leverden het nodige bewijs op om voortzetting van het klinisch ontwikkelingsprogramma voor RG6042 te ondersteunen.

Vragen over in aanmerking komen voor het onderzoek

**** Zijn de geschiktheidsvereisten voor beide onderzoeken gelijk? Moet een persoon symptomen hebben om in aanmerking te komen voor de onderzoeken? ****

- Nee, niet alle geschiktheidscriteria zijn hetzelfde voor beide onderzoeken.
- Bijvoorbeeld, het Natural History-onderzoek zal mensen includeren met vroegmanifeste ZvH (Fase I of II, gedefinieerd als totale functionele capaciteitsscore van 7-13).
- De Fase 3 GENERATION HD1-studie zal mensen includeren met klinisch gediagnosticeerde manifeste ZvH. Dit wordt gedefinieerd als mensen met een CAP-score > 400, onafhankelijkheidsschaal ≥ 70 , en die zelfstandig kunnen lopen en spreken.
- De geschiktheidscriteria voor beide onderzoeken zijn beschikbaar op clinicaltrials.gov of www.hdtfinder.org.

**** Wat betreft de inclusiecriteria voor de Fase 3 GENERATION HD1-studie, wat is de onafhankelijkheidsschaal? Wat betekent een score van 70? ****

- De onafhankelijkheidsschaal is een maat voor de onafhankelijkheid van de deelnemer. De waarde ligt tussen de 0-100, waarbij 0 betekent dat je volledige zorg nodig hebt, en 100 betekent dat er geen speciale zorg nodig is. Een score van 70 betekent: zelfzorg wordt gehandhaafd voor baden, beperkte huishoudelijke taken (koken en gebruik van messen), gestopt met autorijden en niet in staat om financiën te beheren.

**** Welke leeftijdscategorie zal in aanmerking komen voor het HD Natural History-onderzoek en de Fase 3 GENERATION HD1-studie? ****

- Voor beide onderzoeken moeten de deelnemers tussen de 25 - 65 jaar zijn aan het begin van het onderzoek.

**** Wat is een CAP-score, en welke scores komen in aanmerking genomen voor de Fase 3 GENERATION HD1-studie? ****

- CAP staat voor CAG Age Product, en het is een zeer basale wiskundige formule die gedeeltelijk kan worden gebruikt om de startleeftijd van de ZvH bij een persoon te schatten, afhankelijk van hoe lang ze met hun mutatie hebben geleefd.
- CAP-score = (lengte van CAG-herhaling - 33,66) x leeftijd bij aanvang van het onderzoek
- Deelnemers moeten een CAP-score hebben van meer dan 400.

- **** Voorbeeld. **** Een persoon met 44 herhalingen die 39 jaar oud is, $(44 - 33.66) \times 39 = 403.26$. Deze persoon komt in aanmerking
- **** Voorbeeld. **** Een persoon met 40 herhalingen die 60 jaar oud is, $(40 - 33.66) \times 60 = 380.4$. Deze persoon komt NIET in aanmerking

**** Zullen van tevoren bestaande condities iemand ervan weerhouden deel te nemen aan de Fase 3-studie? ****

- Over het algemeen moeten deelnemers een stabiele medische, psychiatrische en neurologische status hebben gedurende ten minste 12 weken voorafgaand aan de screening en bij de start van deelname. Dit betekent dat deze symptomen stabiel en onder controle moeten zijn, geen spoedeisende hulp of belangrijke behandelaanpassingen vereisen, en het vermogen van een persoon om deel te nemen niet aantasten. Mensen met ernstige medische aandoeningen die van invloed kunnen zijn op hun vermogen om de studie te voltooien, worden uitgesloten van deelname aan onderzoek. Patiënten met medische aandoeningen die de studieresultaten kunnen beïnvloeden (bijvoorbeeld chronische migraine) zullen ook worden uitgesloten. Aanvullende geschiktheidscriteria zijn beschikbaar op clinicaltrials.gov of www.hdtrialfinder.org.

**** Kan een deelnemer tijdens de Fase 3-studie de huidige medicatie blijven nemen (bijv. antidepressiva, tetrabenazine)? ****

- In het algemeen mogen deelnemers geneesmiddelen zoals tetrabenazine / deutetetrabenazine, antipsychotica, antidepressiva en medicatie tegen angsten blijven gebruiken, mits de dosis minimaal 12 weken vóór aanvang van het onderzoek stabiel is gebleven. Er zijn enkele uitzonderingen, zoals memantine, amantadine en riluzole, die van invloed kunnen zijn op cognitie (het vermogen om informatie te verwerken), en bepaalde zware bloedverdunders.
- Deze criteria met betrekking tot de huidige medicatie zijn aanwezig om ervoor te zorgen dat de effecten van RG6042 kunnen worden gezien zonder de invloed van andere geneesmiddelen. Verdere informatie over het onderzoek, inclusief gedetailleerde inclusie- en exclusiecriteria, zullen worden gepubliceerd op www.clinicaltrials.gov en worden gedeeld met ZvH-professionals in de gezondheidszorg. We moedigen je aan om met de ZvH-specialist van jou / jou dierbare te praten over wat het beste is voor zijn/haar situatie.

**** Moet ik deelnemen aan een [observatieel](#) onderzoek zoals ENROLL-HD om deel te nemen? ****

- Het is prima voor een deelnemer om betrokken te zijn bij studies zoals ENROLL-HD, HDClarity, PREDICT-HD, of enig ander [observatieel](#) onderzoek, maar dit is niet vereist.

**** Wat als ik heb deelgenomen aan een eerder onderzoek naar een experimenteel medicijn? ****

- Eerdere deelname aan een [klinisch onderzoek](#) zal over het algemeen geen reden zijn om niet deel te kunnen nemen aan het klinische onderzoek, maar er kunnen wel exclusiecriteria van toepassing zijn. Bijvoorbeeld, eerdere of huidige behandeling met een antisense oligonucleotide zal niet worden toegestaan. Als iemand in het verleden langdurig is behandeld met een onderzoeksmedicijn, zal deelname niet worden toegestaan tenzij er voldoende tijd is verstreken om het medicijn volledig uit het lichaam te verwijderen. Gelijktijdige deelname aan een ander [klinisch onderzoek](#) met een interventie is niet toegestaan, zelfs als er geen andere medicatie wordt toegediend. Echter, deelname aan observationele onderzoeken, zoals ENROLL-HD, is toegestaan. Verdere informatie over het onderzoek, inclusief gedetailleerde inclusie- en exclusiecriteria, zal worden gepubliceerd op www.clinicaltrials.gov en worden gedeeld met ZvH-professionals in de gezondheidszorg. We raden het aan om met de ZvH-specialist van jou/jou dierbare te praten over wat het beste is in zijn/haar situatie.

**** Heb ik een begeleider of partner nodig om aan al mijn bezoeken deel te nemen? ****

- Het wordt aangeraden, maar het is niet vereist, dat deelnemers iemand (een familielid of vriend) kennen die als hun onderzoeksbegeleider kan optreden. Bij voorkeur iemand met wie ze regelmatig contact hebben, die aanwezig kan zijn op de afspraken, gemachtigd is om het toestemmingsformulier te ondertekenen en kan helpen bij het invullen van de vragenlijsten.

**** Hoe kan ik meedoen, of hoe worden deelnemers gekozen? Is er een loterij of kan ik me aanmelden via HDSA? ****

- Onderzoeksstudies kunnen werven via bestaande arts-patiëntrelaties, meestal in de centra die het onderzoek uitvoeren, of via een verwijzing naar een nabijgelegen locatie. Een gesprek met je huidige arts is de beste plek om te beginnen.
- Er is geen loterijstelsel en geen aanmeldingslijst. HDSA heeft geen controle over wie deelneemt, en er is geen garantie voor deelname. Er zullen veel meer bereidwillige kandidaten zijn dan deelnemers, maar dit betekent dat het onderzoek waarschijnlijk snel zal gaan.

**** Moet ik in een Centre of Excellence zijn of een arts bezoeken die onderzoek doet? ****

- Je hoeft niet in een Center of Excellence te zijn, maar in het algemeen nemen klinieken met onderzoeksinteresse vaker deel. Zie het gedeelte "Waar en wanneer" voor meer informatie.

**** Waarom is de FASE 3 GENERATION HD1 beperkt tot 25-65 jarigen met een CAP-score van 400? ****

- Roche/Genentech hebben ervoor gekozen om mensen in vroege stadia van de ZvH te bestuderen omdat ze een groep wilden kiezen waarbij de kans het grootst is dat de therapie effect vertoont. ZvH-patiënten met een hoge mate van onafhankelijkheid (gemeten door de Onafhankelijkheidsschaal) zijn geselecteerd omdat ze de meeste kans hebben om het 2 jaar durende onderzoek te voltooien. De ernst van de ziekte in de onderzoekspopulatie wordt bepaald door de CAP; een manier om de toxiciteit van mutant huntingtine in de loop van de tijd te meten. ZvH-patiënten met een CAP > 400 bleken sneller vooruitgang te boeken op belangrijke klinische eindpunten zoals de TFC-schaal, en daarom is de kans groter dat het geneesmiddel in deze groep effect kan hebben op de vertraging van de ziekteprogressie.
- Genentech / Roche en degenen die betrokken zijn bij deze studie, erkennen natuurlijk dat deze metingen per persoon verschillen. Echter, onderzoeksstudies vereisen absoluut vaste limieten zoals deze, en de regels kunnen niet worden aangepast.

**** Waarom worden er geen mensen geïnccludeerd met het ZvH-gen die nog geen symptomen hebben (pre-symptomatische gendragers)? Waarom worden er geen mensen geïnccludeerd die verder gevorderde symptomen hebben? ****

- Genentech / Roche is zich bewust van het feit dat er een continuüm is bij de ZvH, met pre-symptomatische gendragers, individuen met een juveniel begin, latere stadiumsymptomen en ziekteaanvang na 65-jarige leeftijd. Ze concentreren zich op de vroeg-manifeste en manifeste stadia van de ziekte, omdat ze deze eerste, belangrijke studie willen uitvoeren bij mensen met meetbare symptomen, maar wel vroeg genoeg in de ziekte zodat ze meer waarschijnlijk de potentiële effecten van de therapie kunnen zien. Er was ook een eerder veiligheidsonderzoek in de vroeg-manifeste ZvH-populatie waar deze nieuwe onderzoeken op voortbouwen.

**** Ik ben ouder dan 65, gezond en ik heb een CAP-score binnen het bereik van de onderzoekscriteria. Zou overwogen kunnen worden om mij in het onderzoek te includeren? ****

- Helaas niet. De bovengrens voor het onderzoek is 65 jaar. Zie hierboven voor de uitleg.

**** Ik ben jonger dan 25, en ik heb een CAP-score binnen het bereik van de onderzoekscriteria. Zou overwogen kunnen worden om mij in het onderzoek te includeren? ****

- Helaas niet. De ondergrens voor het onderzoek is een leeftijd van 25 jaar. Zie hierboven voor de uitleg.

**** Ik voldoe niet aan de CAP-score vereiste, maar mijn leeftijd ligt tussen de 25 en 65 jaar. Zou overwogen kunnen worden om mij in het onderzoek te includeren? ****

- Helaas niet. De CAP-score van een deelnemer moet bij het begin van het onderzoek meer dan 400 zijn. Zie hierboven voor de uitleg.

**** Kan ik met de studie beginnen op 65-jarige leeftijd, zelfs als ik na voltooiing 67 jaar zou zijn? ****

- Ja, zolang personen zich in de leeftijdscategorie 25-65 bevindt bij de start van het onderzoek, komen ze in aanmerking.

**** Kan ik met het onderzoek beginnen op 24-jarige leeftijd, want ik word 25 tijdens het onderzoek? ****

- Helaas niet. De minimumleeftijd is 25 jaar. U kan wel in aanmerking komen als u nu jonger bent, maar 25 wordt voor aanvang van het onderzoek.

**** Ik kom niet (of mijn dierbare komt niet) in aanmerking. Hoe zit het met mensen die niet aan deze criteria voldoen? ****

- Op dit moment zijn de ontwerp- en geschiktheidsvereisten voor het onderzoek niet flexibel.
- Genentech/Roche negeert niet het belang van mensen die buiten de leeftijdsgrenzen vallen of niet voldoen aan andere geschiktheidscriteria. Het team zal RG6042 in andere populaties onderzoeken als daar voldoende wetenschappelijke en veiligheidsgronden voor zijn.

Vragen over goedkeuring en beschikbaarheid van

het medicijn

** Verwacht u dat als RG6042 wordt goedgekeurd het medicijn in de toekomst beschikbaar zal zijn voor een grotere groep mensen, als deze wordt goedgekeurd? Bijvoorbeeld voor pre-symptomatische personen, mensen in een late fase van ZvH of juveniele ZvH-patiënten? **

- Genentech / Roche erkent de kritieke medische behoefte aan een behandeling voor de ZvH, in het bijzonder voor mensen die leven met ernstige vormen zoals juveniele ZvH. Op dit moment zijn er geen klinische onderzoeken gepland buiten de drie in de vroeg-manifeste en manifeste ZvH fasen (Fase 1/2a OLE, observationele HD Natural History en Fase 3 GENERATION HD1 klinische studies), maar het team zal RG6042 in andere populaties onderzoeken als er voldoende wetenschappelijke en veiligheidsredenen zijn.

** Hoe wordt de werkzaamheid gedefinieerd - hoe weten we of RG6042 werkt? **

- De primaire uitkomst (de belangrijkste verandering in symptomen die zal worden bestudeerd) in de GENERATION-HD1 studie in de Verenigde Staten is een statistisch significante verandering in de [totale functionele capaciteit](#) van mensen die RG6042 toegediend krijgen in vergelijking met [placebo](#). De [totale functionele capaciteit](#) is een maat voor het dagelijks functioneren van mensen. Vele andere maatregelen zullen ook worden onderzocht, waaronder hersenscans, neurologische- en bewegingsbeoordelingen en [huntingtine-eiwit](#) niveaus. De studie zal ook onderzoeken of het medicijn al dan niet veilig is gedurende een langere periode.

** Kan het onderzoek vroegtijdig worden gestopt en het geneesmiddel worden goedgekeurd als het goed werkt? Wanneer wordt dat gecontroleerd? **

- Het is te voorbarig om te speculeren over versneld uitvoeren van de test trajecten. Roche/Genentech zet zich volledig in om de Fase ½ open-label extensie-studie, de HD Natural History-studie en de Fase 3 GENERATION HD1 studie uit te voeren en te voltooien.

** Hoe lang duurt het om alle 660 mensen voor de studie te rekruteren? Worden de criteria voor geschiktheid minder streng of het onderzoek heroverwogen als er niet genoeg mensen worden gevonden? **

- Er is veel met dit onderzoek gemoeid voor elke locatie en elk individu. Alle locaties zullen niet tegelijkertijd geopend worden, en alle 660 mensen kunnen niet allemaal tegelijk beginnen. Het is moeilijk te voorspellen, maar het zal waarschijnlijk tijd kosten om volledig te rekruteren, en het onderzoek zal officieel eindigen wanneer alle deelnemers 25 maanden aan kliniek bezoeken hebben voltooid.
- Er zijn veel meer bereidwillige, geschikte deelnemers dan er mee kunnen doen met de studie, dus rekrutering wordt naar verwachting geen probleem. Maanden en jaren van gesprekken met deskundigen hebben het ontwerp van dit onderzoek gevormd, dus veranderingen zijn zeer onwaarschijnlijk.

** Wanneer worden de resultaten van het Fase 3-onderzoek vrijgegeven? Als dit medicijn werkt, wat gebeurt er dan daarna? **

- Het is erg moeilijk om de uitkomst en de timing van een groot internationaal medicijnonderzoek te voorspellen. We hebben veel hoop dat het onderzoek zo snel mogelijk wordt afgerond, maar er is geen garantie op de timing.
- Als de resultaten veelbelovend zijn, moeten er door regelgevende gezondheidsautoriteiten goedkeuring worden gegeven. Vanwege de grote behoefte vanuit de gemeenschap en omdat een genetische therapie nieuw is, hopen we dat dit proces zo snel mogelijk kan verlopen. Maar nogmaals, dit is extreem moeilijk te voorspellen.

** Is RG6042 beschikbaar via de programma's Right to Try of Compassionate Use? **

- Op dit moment zijn de veiligheid en werkzaamheid niet volledig duidelijk, daarom is toegang momenteel alleen beschikbaar via een [klinisch onderzoek](#). Hoewel Roche/Genentech de behoefte van de gemeenschap erkent, is dit een nieuwe experimentele therapie en de veiligheid en werkzaamheid ervan moeten verzekerd zijn door middel van goed [klinisch onderzoek](#) voordat het op grotere schaal beschikbaar wordt.

** Wat zijn de kosten van RG6042? **

- Deze vraag zal zorgvuldig worden behandeld door Genentech/Roche, maar het is niet mogelijk om deze vraag op dit moment een antwoord te geven. Of RG6042 veilig is en of het mensen kan helpen, is wat de klinische onderzoeken zullen testen. Genentech/Roche is niet geïnteresseerd in het maken van een medicijn dat niet toegankelijk is voor de mensen die het nodig hebben.

De auteurs verklaren geen belangenconflicten te hebben. [Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangenconflicten, zie FAQ...](#)



Onderwerpen

[uitgelicht menselijk genuitschakeling huntingtinevermindering Meer...](#)

Gerelateerde artikelen

[Vooruitgang op vele fronten in de strijd tegen het eiwit dat de ziekte van Huntington veroorzaakt](#)

7 maart 2019

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

3 januari 2019

[Kinderen kunnen ook de ziekte van Huntington krijgen.](#)

16 december 2018

[Vorige](#)[Volgende](#)

- Glossarium
- **Totale Functionele Capaciteit** Een gestandaardiseerde beoordelingsschaal voor het evalueren van patiënten met de ZvH, gebruikt om te beoordelen in welke mate patiënten nog kunnen werken, omgaan met geld, huishoudelijke taken uitvoeren en zichzelf verzorgen.
- **klinisch onderzoek** zeer zorgvuldig geplande experimenten, ontworpen om specifieke vragen te beantwoorden omtrent het effect van een medicijn op mensen
- **huntingtine-eiwit** eiwit dat geproduceerd wordt door het huntington-gen
- **observationeel** Een studie waarin metingen worden verricht bij menselijke vrijwilligers, maar geen experimentele medicijnen of behandelingen worden toegepast.
- **open label** onderzoek waarbij patiënt en dokter weten welk medicijn er gebruikt wordt. Open label onderzoeken zijn vatbaar voor vertekening door placebo-effecten.
- **placebo** is een namaakmedicijn zonder actieve ingrediënten. Het placebo effect is een psychologisch effect waardoor mensen zich beter gaan voelen, zelfs als zij een pil nemen die niet werkt.
- **HTT** afkorting voor het gen dat de ziekte van Huntington veroorzaakt. Wordt ook ZvH gen of IT-15 genoemd.
- [Lees meer definities in de verklarende woordenlijst](#)

Wetenschappelijk nieuws over de Ziekte van Huntington.

In eenvoudige taal. Geschreven door wetenschappers.

Voor de hele ZvH gemeenschap.

HDBuzz

[Nieuws](#)

[Eerder uitgelicht](#)

[Over HDBuzz](#)

[HDBuzz sponsors](#)

[Websites met inhoud van HDBuzz](#)

[**new_to_research**](#)

Personen

[**meet_the_team**](#)

[**help_us_translate**](#)

Volg HDBuzz

Schrijf u in voor onze maandelijkse samenvatting per e-mail door het invoeren van uw e-mailadres hieronder of bekijk meerdere opties op onze [maillijst pagina](#)





© HDBuzz 2011-2019. De inhoud van HDBuzz mag vrij gedeeld worden met anderen, onder de [Creative Commons Licence](#).

HDBuzz is geen bron van medisch advies. Bekijk onze [Voorwaarden voor het gebruik](#) voor volledige informatie.

© HDBuzz 2011-2019. 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

Gegenererd op 17 april 2019 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/265>

Sommige tekst op deze pagina is nog niet vertaald. Het is hieronder weergegeven in de oorspronkelijke taal. We zijn bezig om alle inhoud zo snel mogelijk te vertalen.