

14 Ottobre 2019

Aggiornamento sullo studio di Fase III GENERATION HD1

Alla comunità Huntington

Siamo lieti di annunciare l'aumento del numero totale di pazienti da includere nello studio GENERATION HD1 (NCT03761849), che passa da 660 a 801 partecipanti in tutto il mondo, confermando nel contempo la sua conclusione entro i tempi previsti. Questo cambiamento nello studio non avrà impatto per i partecipanti già inclusi, ma consentirà ad un maggior numero di pazienti di poter partecipare allo studio, sempre suddivisi nei tre gruppi come previsto dal disegno dello studio.

Lo studio GENERATION HD1 sta valutando l'efficacia e la sicurezza della molecola sperimentale RG6042 in persone con malattia di Huntington manifesta. Lo studio sta testando due regimi di trattamento rispetto al placebo, per un periodo di osservazione di 25 mesi: RG6042 una volta ogni due mesi (otto settimane) o RG6042 ogni quattro mesi (16 settimane). L'estensione in aperto dello studio di fase I/IIa è in corso e i con dati generati supporta l'esplorazione dei due gruppi di dosaggio nello studio GENERATION HD1.

Perché stiamo apportando questo cambiamento?

- **Raccogliere più dati:** il numero aggiuntivo di partecipanti fornirà più dati per valutare equamente i gruppi con i due differenti dosaggi, oltre ad aumentare il potere statistico dello studio, ovvero la capacità dello studio di rilevare il beneficio del trattamento. Dalle interazioni con la comunità Huntington, abbiamo recepito l'importanza di valutare entrambe le dosi, pur riconoscendo che un dosaggio meno frequente sarebbe meno impegnativo per i pazienti, le famiglie e l'intero sistema sanitario nella pratica clinica.
- **Maggiore fiducia:** prima di GENERATION HD1 non è mai stato condotto nella malattia di Huntington uno studio di queste dimensioni che implica la somministrazione intratecale di un farmaco sperimentale. L'arruolamento è stato notevolmente rapido in tutto il mondo, fin dall'apertura dello studio.
- **Maggiore diversificazione della popolazione:** l'estensione del reclutamento consentirà di coinvolgere più pazienti in diverse parti del mondo. Poiché il reclutamento americano, in particolare, ha superato le aspettative ed è ora completo, i partecipanti aggiuntivi proverranno dalla rete di centri clinici esistenti in quasi 20 paesi al di fuori degli Stati Uniti, così da diversificare la popolazione in studio. Siamo infatti lieti di annunciare che lo studio GENERATION HD1 viene esteso anche alla Cina; per la prima volta uno studio volto alla valutazione di una terapia per l'Huntington verrà attivato in questo Paese. Le informazioni

sui centri clinici di studio cinesi saranno presto pubblicate su ClinicalTrials.gov. Una più ampia rappresentazione globale negli studi clinici è importante per Roche, così come per le autorità regolatorie di tutto il mondo.

La comunità Huntington è stata un partner fondamentale durante lo sviluppo e l'avanzamento dello studio GENERATION HD1. La velocità di coinvolgimento dei pazienti si deve alla prontezza e all'impegno profuso dalla comunità di medici e di pazienti Huntington nello studio clinico.

Siamo riconoscenti per la collaborazione con la comunità e ci impegniamo a fornire costanti aggiornamenti in merito allo studio.

Cordiali saluti,

Mai-Lise Nguyen, a nome dell'HD team Roche