

Aggiornamento sul programma di sviluppo clinico di tominersen per la malattia di Huntington

23 Marzo 2021

Alla Comunità Huntington,

nell'ambito della nostra collaborazione e a seguito della vostra richiesta di venire aggiornati in maniera tempestiva sul programma clinico di Roche nella malattia di Huntington, desideriamo condividere con voi un importante aggiornamento. Le notizie che stiamo per condividere sono molto difficili da comunicare e siamo consapevoli che lo sarà ancora di più riceverle.

Nel corso dello studio di fase III GENERATION HD1 su tominersen nella malattia di Huntington manifesta, è stato istituito un Comitato indipendente di Monitoraggio dei Dati (iDMC). Il comitato è separato da Roche e rivede regolarmente i dati prodotti durante gli studi clinici, dati a cui Roche non ha accesso, per mantenere la supervisione della sicurezza del paziente e valutare l'equilibrio tra i potenziali rischi e il potenziale beneficio per i partecipanti allo studio.

Questo comitato si è recentemente riunito per effettuare una revisione degli ultimi dati di sicurezza ed efficacia prodotti dallo studio GENERATION HD1, che era stata precedentemente pianificata, e a seguito di questa revisione ha formulato una raccomandazione sul potenziale profilo di rischio / beneficio della terapia sperimentale. Sulla base di tale raccomandazione, interromperemo definitivamente la somministrazione di tominersen e placebo nello studio GENERATION HD1. È importante sottolineare che la raccomandazione non si basa su alcun nuovo problema di sicurezza emergente, ma su una più ampia valutazione del rapporto rischio / beneficio degli schemi di trattamento (bracci) rispetto al placebo, effettuata nel corso del tempo.

Ci rendiamo conto che questa comunicazione solleverà molti interrogativi nella comunità, ma sfortunatamente non abbiamo ancora accesso ai dati dello studio e le informazioni che possiamo condividere con voi in questo momento sono quelle fornite in questa lettera e nel nostro comunicato stampa diramato nella serata di ieri.

Oltre allo studio GENERATION HD1, abbiamo anche deciso di sospendere la somministrazione del farmaco nello studio di estensione in aperto GEN-EXTEND, in modo da poter analizzare attentamente i dati prima di stabilire il modo migliore in cui procedere. Continueremo lo studio di Fase I (GEN-PEAK) perché a differenza di GENERATION HD1 e GEN-EXTEND è uno studio a breve termine in cui i partecipanti ricevono un totale di due dosi di trattamento. Lo studio di storia naturale condotto da Roche non prevede alcun trattamento farmacologico, pertanto continuerà fino al suo completamento per contribuire ad accrescere le conoscenze sulla progressione della malattia di Huntington.

Per quanto riguarda i prossimi passi:

- Abbiamo informato tutti i centri che partecipano allo studio clinico e gli sperimentatori e siamo in procinto di informare i partecipanti allo studio e le loro famiglie. Siamo consapevoli che le comunicazioni riguardanti i nostri studi clinici che sono condotti in tutto il mondo, con centri in diversi Paesi, in differenti fusi orari, potrebbero richiedere del tempo e che i membri della comunità potrebbero essere raggiunti in tempi e modi diversi.

- Gli studi proseguiranno (pur senza ulteriori somministrazioni di farmaco in GENERATION HD1 e GEN-EXTEND) e resta inteso che i partecipanti allo studio continueranno ad essere seguiti dai loro medici per le valutazioni di sicurezza e dei risultati clinici. Siamo molto grati ai partecipanti che proseguiranno con gli studi poiché i dati generati in questo periodo di follow-up forniranno preziose informazioni per tominersen e per la ricerca futura.
- È nostra intenzione fornire quante più informazioni possibili alla comunità, che in questo momento sono limitate e lo saranno fino a quando non avremo accesso ai dati completi e li avremo analizzati. Man mano che verranno generati dati nel programma di sviluppo clinico, saremo in grado di avere una maggiore conoscenza su tominersen e condividere ulteriori elementi in termini di prossimi passi per il programma. Siamo consapevoli del forte desiderio di acquisire nuove conoscenze da questi dati e stiamo lavorando con urgenza per rendere disponibili queste informazioni.
- Oltre agli studi clinici, Roche continuerà a collaborare con la Comunità Huntington su altri progetti in corso.

Ci preme riconoscere l'enorme contributo delle famiglie che stanno partecipando a questi studi, così come quello di tutta la comunità Huntington per la loro collaborazione.

Senza una tale dedizione alla ricerca, svelare i misteri della malattia di Huntington sarebbe impossibile. All'interno del Gruppo Roche e di altre società, rimane forte l'impegno nella lotta alla malattia di Huntington, resta quindi un momento di enorme speranza per la comunità.

In caso di ulteriori domande:

- Per i partecipanti allo studio o i membri delle loro famiglie, li incoraggiamo a contattare il medico di studio per ulteriori informazioni.
- Per i membri della comunità Huntington che hanno domande sull'impatto di questa notizia sulla loro situazione personale o che hanno bisogno di qualcuno con cui parlare, li preghiamo di contattare il centro clinico di riferimento o le associazioni pazienti.

Porgiamo a tutti voi i nostri più cordiali saluti.

Il team HD di Roche Italia

Domande e risposte

Qual è stata la raccomandazione del comitato?

- Il comitato ha raccomandato di interrompere definitivamente la somministrazione di farmaco ai partecipanti in entrambi i gruppi di trattamento con tominersen e placebo nello studio GENERATION HD1
- La decisione si è basata sui risultati di una revisione dei dati dello studio di Fase III condotta da un comitato indipendente di monitoraggio dei dati (iDMC) non in cieco (ovvero che è a conoscenza di quale trattamento ricevono i pazienti) e precedentemente pianificata. L'iDMC ha formulato la sua raccomandazione sulla base del potenziale profilo rischio / beneficio della terapia sperimentale per i partecipanti allo studio.
- È importante sottolineare che la raccomandazione non si basa su alcun nuovo problema di sicurezza emergente, ma su una più ampia valutazione del rapporto rischio / beneficio dei gruppi di trattamento rispetto al gruppo placebo, effettuata nel tempo.

Quando Roche condividerà le informazioni sullo studio che hanno portato a questa decisione?

- Roche non ha ancora accesso ai dati completi che sono stati esaminati da un comitato di monitoraggio dei dati indipendente. Condivideremo con la comunità le nuove conoscenze acquisite quando i dati dello studio saranno resi disponibili e analizzati. Siamo consapevoli del forte desiderio di acquisire nuove conoscenze da questi dati e stiamo lavorando con urgenza per rendere disponibili queste informazioni.
- Intendiamo fornire quante più informazioni possibili alla comunità e forniremo aggiornamenti relativi all'evoluzione del programma di sviluppo clinico.
- Inoltre, man mano che si produrranno dati nel programma, saremo in grado di acquisire maggiori conoscenze su tominersen e valutare quali saranno i passi successivi per la ricerca. Condivideremo per quanto possibile quanto acquisito con tutta la comunità, in modo che tutti possano apprendere nuove conoscenze e continuare a esplorare potenziali nuove opzioni di trattamento.

Questo significa che Roche sta lasciando l'area terapeutica sulla malattia di Huntington?

- Roche rimane impegnata nell'ambito della malattia di Huntington e i nostri studi continuano.
- I dati di GENERATION HD1 miglioreranno la nostra comprensione di tominersen e forniranno informazioni importanti per la ricerca di altri trattamenti in grado di modificare l'andamento della malattia.
- Oltre a tominersen, le società del gruppo Roche stanno studiando approcci di terapia genica per il trattamento della malattia di Huntington.

A chi posso rivolgermi per chiedere aiuto in caso di domande?

- Per i partecipanti allo studio: Se ha domande sullo studio e sul Suo coinvolgimento, Le consigliamo di contattare direttamente il personale del centro di studio
- Per i membri della comunità Huntington: vi invitiamo a contattare il vostro centro clinico locale o le associazioni pazienti.