

Aprile 2020

**Aggiornamento sul programma clinico di tominersen (RG6042)\* nella malattia di Huntington (HD): il reclutamento nello studio clinico GENERATION HD1 è stato completato**

Alla comunità di pazienti affetti da HD,

Siamo lieti di annunciare che il reclutamento internazionale nello studio clinico di fase III GENERATION HD1 è stato completato. Dopo la conclusione del reclutamento negli USA precedentemente comunicata a ottobre 2019, è stato reclutato un numero complessivo di 791 pazienti con HD manifesta in 18 paesi diversi per completare l'arruolamento globale nello studio. Nell'ambito della nostra collaborazione continua e facendo seguito alla vostra richiesta di ricevere aggiornamenti importanti e tempestivi in merito al programma clinico di Roche sulla HD, desideriamo condividere questa notizia e informarvi sui prossimi sviluppi.

Questo risultato è il frutto dell'impegno profuso dalla comunità HD sin dall'inizio. Siamo estremamente grati a tutti i partecipanti, alle loro famiglie, ai centri clinici e al loro personale, così come all'intera comunità HD, che hanno supportato le fasi di progettazione, avvio e reclutamento dello studio.

**Cosa accadrà ora che il reclutamento è stato completato? Quando saranno disponibili i risultati?**

Anche se la conclusione del reclutamento rappresenta un'importante novità, l'impegno richiesto ai partecipanti dello studio e ai ricercatori è solo all'inizio. Per un periodo di venticinque mesi, ogni partecipante dello studio si sottoporrà a esami, valutazioni mediche e iniezioni intratecali della terapia sperimentale tominersen o del placebo, e dovrà utilizzare dei dispositivi di monitoraggio digitale. La sicurezza dei partecipanti e la loro esperienza all'interno dello studio verranno monitorate regolarmente dai ricercatori presso i centri sperimentali e da Roche.

Dopo che tutti i partecipanti dello studio avranno completato il periodo della sperimentazione di 25 mesi, i ricercatori analizzeranno i dati complessivi dello studio, che sono previsti per il 2022. Nel caso in cui il profilo beneficio/rischio di tominersen risulti favorevole, i dati verranno sottoposti alle autorità sanitarie affinché il farmaco possa essere valutato come trattamento approvato per i soggetti affetti da HD.

**La pandemia da COVID-19 sta avendo un impatto sugli studi con tominersen?**

Desideriamo rassicurarvi sul fatto che, laddove le linee guida lo consentano, gli studi su tominersen sono in corso presso i centri sperimentali in tutto il mondo. Lo studio GENERATION HD1 sta proseguendo in collaborazione con i suoi partecipanti, gli sperimentatori e le autorità sanitarie. Al contempo, considerando l'impatto del COVID-19, garantiamo la sicurezza dei pazienti e l'integrità dei dati in tutti gli studi. Qualora i partecipanti abbiano domande specifiche in merito alla loro situazione, li esortiamo a parlarne con il centro sperimentale.

In queste circostanze eccezionali, continuiamo a valutare come poter supportare al meglio la comunità

e siamo aperti a qualsiasi suggerimento. Per il momento desideriamo ringraziare nuovamente la comunità per il suo sostegno e il suo interesse verso lo studio, che ci hanno permesso di raggiungere questo traguardo importante.

Per qualsiasi domanda su questo aggiornamento, non esitate a contattarci.

Cordiali saluti,

Il team HD di Roche Italia

*\*RG6042 ha un nuovo nome: tominersen*

*Tominersen è la denominazione comune internazionale (DCI), anche nota come denominazione generica, della molecola sperimentale più recentemente conosciuta come RG6042.*

*La procedura per la DCI viene formalmente gestita dall'Organizzazione mondiale della sanità e può essere avviata solo se una molecola sperimentale si in fase di sperimentazione clinica. Per presentare una domanda di DCI occorre prendere in considerazione diversi aspetti, per esempio l'utilizzo della radice o del suffisso necessari, che consentono agli operatori sanitari di riconoscere un gruppo simile di sostanze (-rsen), una sufficiente unicità rispetto ad altre DCI approvate ai fini di una prescrizione sicura e se la DCI possa essere usata e pronunciata in diverse lingue.*

Tominersen è un farmaco sperimentale non approvato dalle autorità sanitarie per il trattamento della HD. Quando un farmaco sperimentale viene approvato dalle autorità sanitarie, viene assegnata una denominazione commerciale.

## **Domande e risposte**

### **1. In cosa consiste lo studio GENERATION HD1?**

Lo studio GENERATION HD1 sta valutando l'efficacia e la sicurezza di tominersen in soggetti con HD manifesta. La sperimentazione, che ha una durata di 25 mesi, sta testando due regimi posologici rispetto al placebo: tominersen una volta ogni due mesi (otto settimane) o una volta ogni quattro mesi (16 settimane).

### **2. È ancora possibile partecipare allo studio GENERATION HD1?**

Poiché il reclutamento nello studio è terminato, non siamo più in grado di arruolare nuovi partecipanti. Ciò ci consente tuttavia di far progredire lo studio e di completarlo il più velocemente possibile. Continueremo a tenere aggiornata la comunità HD sull'avanzamento dello studio e condivideremo dati e risultati non appena disponibili.

**3. Se l'arruolamento è stato così intenso, perché interromperlo prima di raggiungere il numero di 801 pazienti?**

Con 791 soggetti affetti da HD manifesta provenienti da tutto il mondo reclutati nello studio di fase III GENERATION HD1, abbiamo raggiunto il 99% circa dell'obiettivo previsto di 801 partecipanti. Data la situazione in continua evoluzione a causa dell'emergenza COVID-19, abbiamo deciso di chiudere il reclutamento su scala internazionale a 791 partecipanti, in modo da evitare ulteriori pressioni sui centri sperimentali che stavano selezionando i partecipanti potenziali. Siamo certi che questo numero di pazienti sia sufficiente a fornire le informazioni necessarie per valutare approfonditamente il profilo beneficio/rischio di tominersen nella HD manifesta.

Questa decisione permette inoltre allo studio GENERATION HD1 di proseguire secondo le tempistiche previste.

**4. Posso accedere a tominersen al di fuori degli studi clinici?**

Al momento è possibile accedere a tominersen soltanto attraverso la partecipazione a uno studio clinico, in quanto i benefici e i rischi di questo medicinale non sono ancora del tutto noti. Non possiamo pertanto accogliere alcuna richiesta di pre-approvazione o uso compassionevole.

**5. I vostri studi clinici sono sulla HD manifesta. Studierete tominersen in altre popolazioni con HD (per es. HD giovanile o pre-sintomatica)?**

Riconosciamo la cruciale necessità medica di un trattamento per la HD, soprattutto per coloro che soffrono di forme gravi della malattia, come la HD giovanile. Quando disporremo di un sufficiente razionale scientifico e di sicurezza sufficienti, il nostro team consulterà gli esperti della comunità HD per stabilire in che modo poter valutare studi potenziali su tominersen in altre popolazioni oltre a quella affetta da HD manifesta.

**6. In che modo Roche è in grado di proseguire questa sperimentazione clinica durante la pandemia da COVID-19?**

Stiamo lavorando a stretto contatto con gli sperimentatori, i centri sperimentali e le autorità locali per ridurre qualsiasi nuovo rischio posto dal COVID-19 e per accertarci che la sperimentazione possa proseguire, purché in sicurezza. Il nostro obiettivo principale è garantire la sicurezza dei pazienti e l'integrità dei dati. Pertanto:

- Consigliamo ai partecipanti degli studi clinici di discutere la propria situazione personale con i rispettivi centri sperimentali, di seguire le raccomandazioni fornite e di rispettare le linee guida delle autorità locali.
- Qualora i pazienti e le famiglie non possano più recarsi in ospedale per la somministrazione del trattamento o per effettuare le valutazioni, gli sperimentatori si terranno in contatto telefonico con loro per monitorare le condizioni di salute e discutere potenziali eventi avversi o qualsiasi altro problema.

Stiamo esaminando regolarmente la situazione dei centri sperimentali che operano con tominersen in tutto il mondo e vi terremo aggiornati se e quando dovessero emergere nuovi sviluppi.