

Enfermedad de Huntington

Estudio para evaluar la eficacia y seguridad de RO7234292 (RG6042) en pacientes con enfermedad de Huntington manifiesta.

Trial Status
Completado

Trial Runs In
17 Countries

Trial Identifier
NCT03761849 GENERATION HD1
BN40423

La información se obtuvo directamente de sitios web de registros públicos, como ClinicalTrials.gov, EuClinicalTrials.eu, ISRCTN.com, etc., y no se ha editado.

Official Title:

Estudio clínico en fase III, aleatorizado, multicéntrico, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia y la seguridad de RO7234292 (RG6042) administrado por vía intratecal en pacientes con enfermedad de Huntington manifiesta.

Trial Summary:

Este estudio evaluará la eficacia, la seguridad y los efectos de los biomarcadores del RO7234292 (RG6042) en comparación con el placebo en pacientes con enfermedad de Huntington manifiesta (EH).

Hoffmann-La Roche
Sponsor

Fase III
Phase

NCT03761849 GENERATION HD1 BN40423
Trial Identifiers

Eligibility Criteria:

Gender All	Age #25 Years & # 65 Years	Healthy Volunteers No
----------------------	--------------------------------------	---------------------------------

Inclusion Criteria:

- Edad de 25 a 65 años y en el momento de la administración de la primera dosis.
- Diagnóstico de EH manifiesta (definido como una puntuación de grado de confianza diagnóstica (DCL) de 4).
- Puntuación # 70 en la Escala de independencia (IS).
- Enfermedad confirmada genéticamente mediante análisis de ADN directo con una puntuación CAP > 400 (Edad x [longitud de repetición CAG – 33,66]).

ForPatients

by Roche

- Capacidad para leer las palabras “rojo”, “azul” y “verde” en el idioma nativo.
- Capacidad para caminar sin ayuda sin bastón ni andador y moverse sin silla de ruedas a diario, según lo determinado en las visitas de selección y basal.
- Índice de masa corporal de 16–32 kg/m²; peso corporal total > 40 kg.
- Capacidad de someterse y tolerar las resonancias magnéticas (RM).
- Capacidad para tolerar las extracciones de sangre y las punciones lumbares.
- Aclaramiento de creatinina (CrCl) # 60 ml/min (fórmula de Cockcroft-Gault).
- Capacidad y voluntad, en opinión del investigador, de cumplir todos los aspectos del protocolo, incluida la realización de entrevistas y cuestionarios durante el estudio y de llevar un teléfono inteligente, llevar un dispositivo de monitorización digital y realizar tareas basadas en un teléfono inteligente.
- Estado médico, psiquiátrico y neurológico estable durante al menos 12 semanas antes de la selección y en el momento de la inclusión.
- Consentimiento firmado del acompañante en el estudio para participar en el estudio que cumpla todos los criterios siguientes:
 - Edad # 18 años.
 - Fiable y competente, a criterio del investigador.
 - Conocimiento suficiente del estado del paciente para realizar las evaluaciones del acompañante en el estudio y probabilidad de mantenerse suficientemente informado durante todo el estudio, según el criterio del investigador.
 - Capacidad de comentar los síntomas y la experiencia funcional del participante en el estudio.
 - Capacidad y voluntad de asistir en persona a todas las visitas clínicas para completar las evaluaciones del acompañante y de participar en la escala TFC evaluada por el médico.
 - Los acompañantes no deben presentar cambios cognitivos, conductuales ni motores, en opinión del investigador, que puedan cuestionar la validez de los datos adquiridos comunicados por el observador.
- Mujeres en edad fértil: Deberán comprometerse a practicar la abstinencia o a usar métodos anticonceptivos, a no mantener relaciones sexuales o a usar dos métodos anticonceptivos, incluido al menos uno con una tasa de fallos anual < 1% al año, durante el período de tratamiento y durante al menos 5 meses después de la última dosis del fármaco del estudio.
- Varones: compromiso de practicar la abstinencia o utilizar métodos anticonceptivos y de no donar semen, con parejas que sean mujeres con capacidad de procrear o embarazadas, los varones deben comprometerse a no mantener relaciones sexuales o a utilizar un preservativo durante el período de tratamiento y durante al menos 5 meses después de la última dosis del fármaco del estudio para no exponer al embrión.

Exclusion Criteria:

- Antecedentes de intento de suicidio o ideación suicida con un plan (es decir, ideación suicida activa) que haya requerido una visita al hospital y/o un cambio en el nivel de asistencia en los 12 meses previos a la selección.
- Psicosis activa actual, estado de confusión o conducta violenta.
- Cualquier enfermedad grave o anomalía analítica o de las constantes vitales o claustrofobia de importancia clínica en la selección que, en opinión del investigador, impida la participación segura del paciente en el estudio y su finalización.
- Antecedentes o existencia de un ECG anormal que sea clínicamente significativo, en opinión del investigador, como bloqueo completo de rama izquierda, bloqueo cardíaco auriculoventricular de segundo o tercer grado o signos de infarto de miocardio previo.
- Diagnóstico clínico de por vida de migrañas crónicas.
- Embarazo o lactancia, o intención de quedarse embarazada durante el estudio o en los 5 meses siguientes a la última dosis del fármaco del estudio.
- Presencia de una derivación implantada para el drenaje de LCR o de un catéter del SNC implantado.

ForPatients

by Roche

- Positividad para el virus de la hepatitis C (VHC) o antígeno de superficie del virus de la hepatitis B.
- Infección conocida por el VIH.
- Uso actual o previo de un oligonucleótido antisentido .
- Uso actual o previo de antipsicóticos prescritos para un trastorno psicótico primario independiente, inhibidores de la colinesterasa, memantina, amantadina o riluzol en las 12 semanas previas al inicio del tratamiento del estudio.
- Uso actual de antipsicóticos para síntomas motores o regulación del estado de ánimo y/o tetrabenazina, valbenazina o deutetrabenazina en una dosis que no se haya mantenido estable durante al menos 12 semanas antes de la selección o que se prevea un cambio entre la selección y el inicio del tratamiento.
- Uso actual de suplementos en una dosis que no se haya mantenido estable durante al menos 6 semanas antes de la selección o que se prevea un cambio durante el estudio.
- Uso actual de un antidepresivo o benzodiazepina en una dosis que no se haya mantenido estable durante al menos 12 semanas antes de la selección o que se prevea un cambio entre la selección y el inicio del tratamiento.
- Tratamiento experimental en las 4 semanas previas o con 5 semividas de eliminación del medicamento antes de la selección, lo que sea más largo.
- Tratamiento con antiagregantes plaquetarios o anticoagulantes en los 14 días previos a la selección o uso previsto durante el estudio, entre ellos, ácido acetilsalicílico, clopidogrel, dipiridamol, warfarina, dabigatrán, rivaroxabán y apixabán.
- Antecedentes de diátesis hemorrágica o coagulopatía.
- Recuento de plaquetas por debajo del límite inferior de la normalidad.
- Antecedentes de genoterapia, trasplante de células o cualquier intervención quirúrgica cerebral experimental.
- Participación simultánea o prevista en cualquier estudio clínico intervencionista, incluidas intervenciones farmacológicas y no farmacológicas explícitas.
- Abuso de drogas y/o alcohol o dependencia psicológica o fisiológica en los 12 meses previos a la selección, según el criterio del investigador.
- Acceso venoso periférico deficiente.
- Escoliosis o deformidad vertebral o intervención quirúrgica que hagan inviable la inyección intratecal en un entorno ambulatorio y que pueda interferir en la distribución de RO7234292 en el neuroeje.
- Infección que precise antibióticos IV u orales en los 14 días previos a la selección y a la aleatorización.
- Antirretrovirales, incluidos los utilizados como profilaxis dentro de los 12 meses posteriores a la inclusión en el estudio.
- Neoplasia maligna en los 5 años previos a la selección, excepto carcinoma basocelular o espinocelular de piel o carcinoma in situ de cuello uterino tratado con éxito.
- Lesiones intra o extra axiales (p. ej., tumor, malformación arteriovenosa, meningiomas) valorada mediante RM evaluada de forma centralizada durante el período de selección mediante RM evaluada de forma centralizada durante el período de selección.