

August 2022

Liebe Mitglieder der Deutschen-Huntington-Hilfe,

heute möchten wir Ihnen ein Update von Novartis bezüglich unserer laufenden klinischen Studie zu Branaplam bei der Huntington-Krankheit zukommen lassen. Novartis hat beschlossen, die Dosierung des Studienmedikaments Branaplam in der Ph2b-VIBRANT-HD-Studie bei Erwachsenen mit der Huntington-Krankheit vorübergehend auszusetzen. Diese Entscheidung beruht auf der Empfehlung eines unabhängigen Datenüberwachungskomitees (Data Monitoring Committee, DMC) im Anschluss an eine geplante Datenüberprüfung. Bei dieser Datenüberprüfung wurden Befunde festgestellt, die auf eine durch Branaplam verursachte periphere Neuropathie bei einigen Teilnehmern schließen lassen. Periphere Neuropathie entsteht durch Schädigung der Nerven außerhalb des Gehirns und des Rückenmarks. Unsere Entscheidung, die Verabreichung vorübergehend auszusetzen, wurde vom VIBRANT-HD-Lenkungsausschuss befürwortet.

Die Ph2b-VIBRANT-HD-Studie ist die erste Studie in der Branaplam bei Erwachsenen mit der Huntington-Krankheit untersucht wird. Im Vorfeld wurde Branaplam bereits in vorklinische Studien und Studien an gesunden Freiwilligen sowie eine mehrjährige klinische Studie bei Kindern mit SMA (spinale Muskelatrophie) untersucht. Die VIBRANT-HD Studie wurde konzipiert, um frühe Sicherheitssignale zu erkennen und uns zu ermöglichen, fundierte Entscheidungen für die Studie zu treffen. Dazu gehörten Untersuchungen, die auf eine potenzielle periphere Neuropathie hindeuten können, wie die Messung der Neurofilament-Leichtkette (NfL) im Blut, neurologische Untersuchungen und Nervenleitfähigkeitstests sowie die Beurteilung von Symptomen. Auf der letzten Sitzung des DMC wurde festgestellt, dass die Daten Anlass zur Sorge geben, weil bei einigen Teilnehmern eine periphere Neuropathie beobachtet wurde.

Der DMC hat nicht empfohlen, die Studie zu diesem Zeitpunkt zu beenden. Die Behandlung mit dem Studienmedikament wurde vorübergehend ausgesetzt, und die Teilnehmer werden gemäß dem Protokoll weiterhin an den studienspezifischen Untersuchungen teilnehmen. Der neurologische Status wird weiterhin überwacht; die Teilnehmer werden neurologisch untersucht und es werden Nervenleitfähigkeitsstudien sowie andere Untersuchungen durchgeführt, um diese Befunde besser zu verstehen.

Wir wissen, welche verheerenden Auswirkungen die Huntington-Krankheit auf die Betroffenen und ihre Familien hat. Wir werden weiterhin eng mit den an der Studie Beteiligten zusammenarbeiten und alle verfügbaren Informationen, einschließlich der in den kommenden Monaten anfallenden Daten, gründlich auswerten, um diese Ergebnisse besser zu verstehen und die nächsten Schritte für die Studie festzulegen. Wir werden auch weiterhin mit führenden Vertretern der Patientengemeinschaft zusammenarbeiten und Sie und andere Mitglieder der HD-Gemeinschaft in den kommenden Monaten so bald wie möglich über aktuelle Entwicklungen informieren.

Wir sind Ihnen dankbar, dass Sie uns weiterhin unterstützen. Sollten Sie Fragen haben oder zusätzliche Informationen benötigen stehen wir Ihnen gerne jederzeit zur Verfügung.

Ihr Novartis-Deutschland-Team