

Übersetzung der DHH, es gilt das englische Original



Liebe Leiter\*innen der Huntington-Patientenorganisationen,

wir schreiben Ihnen, um Sie darüber zu informieren, dass uniQure heute [21. Juni 2023] eine Pressemitteilung veröffentlicht hat, in der Zwischenergebnisse von 26 Patienten bekannt gegeben werden, die an der laufenden HD Gene TRX-1-Studie teilnehmen, einer klinischen Studie der Phase I/II mit AMT-130 zur Behandlung der Huntington-Krankheit, die in den Vereinigten Staaten durchgeführt wird.

Die Analyse umfasst eine Nachbeobachtungszeit von bis zu 24 Monaten. Die wichtigsten Ergebnisse lauten wie folgt:

- AMT-130 ist in beiden Dosis-Kohorten weiterhin allgemein gut verträglich.
- Patienten, die mit AMT-130 behandelt werden, zeigen im Vergleich zum Ausgangswert eine erhaltene Funktion und klinische Vorteile im Vergleich zum natürlichen Verlauf der Krankheit.
- Die Neurofilament-Leichtkette (NfL, *Neurofilament Light Chain*) in der Gehirn-Rückenmarks-Flüssigkeit (CSF) lag bei Patienten, die mit der niedrigen Dosis von AMT-130 behandelt wurden, nach 24 Monaten unter dem Ausgangswert sowie nach 12 Monaten bei Patienten, die mit einer hohen Dosis AMT-130 behandelt wurden, wieder absinkend im Bereich des Ausgangswerts.
- Die Unterdrückung von mHTT [mutiertem Huntingtin] im Liquor in der Niedrigdosis-Kohorte unterstützt die Zielsetzung von AMT-130; größere Variabilität in der Hochdosis-Kohorte beobachtet.
- Die Daten unterstützen die Fortsetzung der klinischen Entwicklung von AMT-130 und die Fortsetzung der regulatorischen Bemühungen, um die späte Entwicklungsphase zu diskutieren.

Die HD Gene TRX-1-Studie untersucht die Sicherheit, Verträglichkeit und Wirksamkeit bei insgesamt 26 Patienten mit frühmanifesten Huntington-Krankheit. Weitere Einzelheiten sind abrufbar unter <http://www.clinicaltrials.gov> (NCT04120493).

Bitte beachten Sie, dass das Management von uniQure [...] eine Telefonkonferenz und einen Webcast [...] veranstalten wird. Einzelheiten zur Telefonkonferenz und zum Web-cast können der Pressemitteilung entnommen werden.

Das Webinar [...] richtet sich in erster Linie an Investoren. Wir planen jedoch auch in Kooperation mit der Huntington's Disease Society of America ein Webinar zu veranstalten, das sich in erster Linie an Patientinnen und Patienten der Huntington-Krankheit richtet. Sobald wir Details haben, werden wir Ihnen diese mitteilen, damit Sie sie an Ihre jeweiligen Gemeinschaften weitergeben können.

Wir sind sehr dankbar für die Unterstützung, die wir aus der Gemeinschaft erhalten haben, und für die Pioniere, die sich freiwillig zur Teilnahme an der Studie bereit erklärt haben. Nur durch diese Zusammenarbeit können wir sichere und wirksame Behandlungen entwickeln, um den Verlauf der Huntington-Krankheit zu beeinflussen. Wir

freuen uns darauf, die Arbeit mit Ihnen und der gesamten Huntington-Gemeinschaft fortzusetzen und das AMT-130-Programm voranzubringen.

Mit freundlichen Grüßen

Daniel Leonard  
Leitender Direktor der Globalen Patientenfürsprache

uniQure Inc.  
113 Hartwell Avenue  
Lexington, MA 02421

uniQure Biopharma BV  
Paasheuvelweg 25A  
P.O. Box 22506  
1100 DA Amsterdam