

GENERATION HD-2

RESUMEN

- Nuevo ensayo de Roche con Tominersen
- Nuevo diseño basado en subgrupo de participantes en GENERATION-HD1
- Inicio primer trimestre 2023
- Varios centros en España. También Sudamérica

DATOS BÁSICOS

- Disminución de Huntingtina
- No selectiva (disminuye también Htt normal)
- Dosis más bajas y sólo administraciones cada 4 meses (100mg/60mg/placebo 1:1:1)
- Duración: 16 m (desde la inclusión del último participante)
- 360 participantes en total
- Objetivos principales: Seguridad. Biomarcadores. Eficacia clínica.

CRITERIOS DE INCLUSIÓN CLAVE

- Edad 25-50 años
- CAP score: **400-500**
- Calcula tu CAP: $\text{Edad} \times (\text{CAG} - 33.66)$
- Pacientes sintomáticos (pero pueden participar “prodrómicos”, con TMS >6)
- IS > 70 (mide capacidad funcional)
- Hace falta un “acompañante” para algunas visitas
- Pueden participar pacientes del GENERATION HD-1 que recibieran placebo (si cumplen resto de criterios)