

SELECT-HD (WVE-003)

RESUMEN

- Fármaco dirigido a disminuir Huntingtina
- Es selectivo de Huntingtina mutada (no afecta a HTT normal)
- Reclutamiento activo.
- Varios centros en España.

DATOS BÁSICOS

- Estudio del laboratorio Wave-Lifesciences.
- Actualmente los pacientes solo reciben una dosis, hasta que un comité confirme que se puede pasar al periodo 2 donde los pacientes incluidos recibirán múltiples dosis.
- El tratamiento se administra con punción lumbar.
- Reclutamiento activo a fecha de 2 feb 2023.

CRITERIOS DE INCLUSIÓN CLAVE

- Edad 25-60 años
- CAG >36 repeticiones.
- Pacientes sintomáticos (pero pueden participar “prodrómicos”, con TMS >6)
- TFC: entre 9-13
- Estudio de prescreening que confirme presencia de variante A en SNP3 en alelo mutado (40% de los pacientes)