

# LE TERAPIE IN FASE DI STUDIO PER LA MALATTIA DI HUNTINGTON



	NOME FARMACO	AZIENDA	SOMMINISTRAZIONE	STUDIO CLINICO	FASE	OBIETTIVI DELLO STUDIO	PAESI IN CUI È IN CORSO LO STUDIO CLINICO
<b>OLIGONUCLEOTIDI ANTISENSO</b>	<b>PTC518</b>	PTC Therapeutics - Novartis	orale	Studio SAD Studio MAD	fase I	sicurezza, farmacologia e tollerabilità	/
	<b>Tominersen (RG6042)</b>	Roche	intratecale	Generation HD1 (NCT03761849)	fase III	effetti collaterali e rapporto rischi/benefici	<u><a href="#">sperimentazione clinica interrotta il 22/03/2021</a></u>
	<b>WVE-120101</b> <b>WVE-120102</b>	Wave - Takeda	intratecale	Precision HD1 (NCT03225833) Precision HD2 (NCT03225846)	fase Ib/IIa	sicurezza e tollerabilità	<u><a href="#">sperimentazioni cliniche interrotte il 29/03/2021</a></u>
	<b>WVE-003</b>			/			
<b>TERAPIA GENICA</b>	<b>AMT-130 (AAV5-miHTT)</b>	UniQure Biopharma	intratecale	NCT04120493	fase I/II	sicurezza e tollerabilità	USA
	<b>VY-HTT01</b>	Voyager	/	/	fase precilinca	superare i modelli in vitro e in vivo	/



## ALTRE TERAPIE FARMACOLOGICHE

NOME FARMACO	AZIENDA	SOMMINISTRAZIONE	STUDIO CLINICO	FASE	OBIETTIVI DELLO STUDIO	PAESI IN CUI È IN CORSO LO STUDIO CLINICO
<b>ANX005</b> anticorpo monoclonale	Annexion	infusione in vena	NCT04514367	fase II	efficacia e effetti collaterali a breve termine	/
<b>Branaplam (LMI070)</b> interferenza con l'espressione del gene HTT	Novartis	orale	in fase di avviamento (inizio previsto entro il 2021)	fase IIb	efficacia e effetti collaterali a breve termine	/
<b>Pridopidina</b> agonista di S1R	Prilenia Therapeutics	orale	PROOF-HD (NCT04556656)	fase III	efficacia, effetti collaterali e rapporto rischi/benefici	USA, Canada, Europa (Italia compresa)
<b>Valbenazina</b> inibitore di VMAT2	Neurocrine Biosciences e Huntington Study Group	orale	KINECT HD (NCT04102579)	fase III	effetti collaterali e rapporto rischi/benefici	/
<b>VX15</b> anticorpo monoclonale	Vaccinex	infusione in vena	SIGNAL (NCT02481674)	fase II	efficacia e effetti collaterali a breve termine	/