

## 2021 - Day 1

Wave, Roche, Triplet 2021 CHDI #HDTC2021



Dr Rachel Harding, Dr Leora Fox, Dr Jeff Carroll

2022 05 12 ( ) Dr Rachel Harding

Prof Wooseok Im 2021 04 28 ( )

C HDI Therapeutics Conference 2021 Twitter #HDTC2021 HD

## Wave Roche

Wave Roche 가



, tominersen HD

Vissia Viglietta Wave Life Sciences PRECISION HD1 2 Viglietta PRECISION-HD Wave가 HD Wave 가 HTT 가

Wave HD 가 ... Wave ... NFL ... 가 가 ...

Viglietta WVE-003 Wave ... " ... Wave ASO ... WVE-003 HD ... HD ...

HD HD 가 DNA Viglietta 가 ... WVE-003 ... 1b/2a ...

...

Roche Scott Schobel Phase III GENERATION-HD1 ... ASO tominersen ...

Schobel GENERATION-HD1 가 ... tominersen I/II Roche GENERATION-HD1 (120mg) 가 tominersen Roche 가 III ...

GENERATION-HD1 8 16 Roche tominersen Roche Schobel 60% 가 가 ...

... 8 tominersen HD ... 가 ...

... tominersen 가 ...

to minersen HD GENERATION-HD1 가

Roche HD to minersen

Schobel Roche가 HD 가

Q&A

가

Q: ?

“Nature HD HD ”

A: Viglietta Wave가 ASO WVE-003 PRECISION-HD ASO

Q: WVE-003 PRECISION-HD ?

A: ; Viglietta PRECISION-HD ASO WVE-003 40% WVE-003

Q: Tominersen ( ) Roche GENERATION-HD1 ?

A: Schobel GENERATION-HD1

Q: to minersen 가 WVE-003 ?

A: Viglietta

Q: 가 Wave Roche ?

A: Schobel HD Roche HD 가 가  
HD , HD  
.

,  
가

**HD** :  
.

HD HD DNA  
CAG 가 DNA , CAG  
).

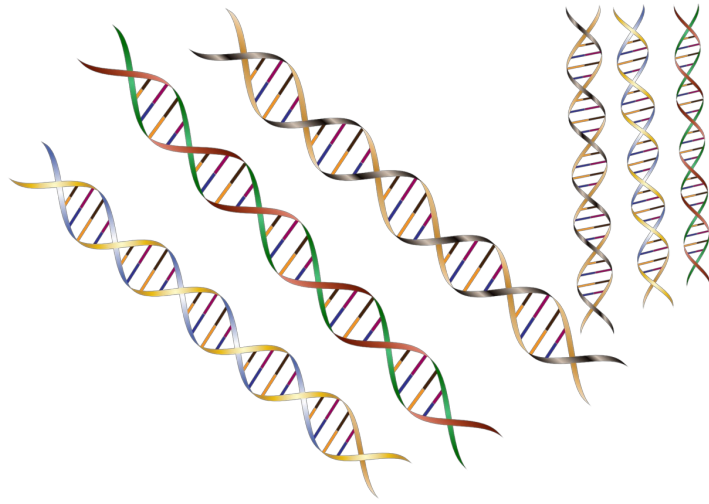
.

James Gusella HD 가  
CAG가 HD  
가 HD  
HD  
.

HD CAG FAN1  
DNA

Gusella  
HD 가  
Gusella

HD :



DNA

Vanessa Wheeler가 HD가 CAG가

Wheeler가 HD가 CAG가 (CRISPR)

가 HD가 CAG가 Wheeler가 HD가 CAG가 Triplet Therapeutics가 HD가

### FAN1가 HTT CAG가

Michael Flower가 HD가 FAN1가 FAN1가 FAN1가 HD가

FAN1가 DNA가 FAN1가 Vanessa Wheeler가

FAN1 가  
FAN1 가  
FAN1  
FAN1 HD  
.

Daniel O'Reilly MSH3  
MSH3. O'Reilly "RNA"  
RNAi RNAi  
HD  
RNAi,

O'Reilly 가 HD  
O'Reilly  
MSH3 RNAi  
가  
MSH3 RNAi  
MSH3 HD,

O'Reilly RNAi 가

HD /

Irina Antonijevic Triplet Therapeutics TTX-3360 HD  
Antonijevic  
(HD CAG)

Triplet MSH3  
CAG  
Triplet MSH3 가  
MSH3 HD MSH3 50%  
MSH3가

TTX-3360  
ASO. Triplet 가 HD  
가

Triplet 2021 HD 가 I/IIa  
MSH3  
. Antonijevic CAG HD  
Triplet Therapeutics SHIELD-HD  
. COVID SHIELD-HD  
SHIELD 가 TTX-3360 I/II. Antonijevic  
SHIELD-HD 가 HD

...  
.

---

가 가 FAQ  
...

---

■ ■ ■ ■  
CAG  
CAG 가  
RNA RNA

---

© HDBuzz 2011-2025. - ShareAlike 3.0 Unported License  
HDBuzz  
HDBuzz [hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)  
2025 05 17 ( ) — <https://ko.hdbuzz.net/304>