

HDBUZZ

HDF 2022 - 1

2022 HDF Milton Wexler Biennial Symposium #HDF2022 1



Dr Rachel Harding (Dr Sarah Hernandez)

2022 08 31 (Dr Sarah Hernandez)

Prof Wooseok Im 2022 08 30

(@hdfcures) 2022 Milton Wexler Biennial Symposium in Boston HDBuzz HDBuzz 가 @hdfcures

HD (tominersen) 가



HDF HD

HD

UCL Sarah Tabrizi Sarah HD 가 Sarah 가 HD

PREDICT-HD [1] ENROLL-HD [2] HD 가 [3] HD가 [4]
[5]. HD-YAS(HD Young Adult Study) [6] HD [7]
[8]가 [9] HD [10]가 [11]
[12]. HDBuzz [13] HD-YAS가 Tabrizi [14]

[15]가 [16] CAG [17]

HD가 [18]가 [19] HD [20]가
[21]가 [22]. 8 [23] HD [24]가 [25] ([26]

NfL([27]) [28] HD [29]
[30]가 [31]. [32], [33]
[34]가 [35] ([36] 12 [37]!), NfL [38] HD가
[39]가 [40].

HD [41] HD가 [42]
[43]가 [44]. [45] 24 [46]
[47]가 [48].

NfL [49]가 [50]가 [51]. [52]
HD [53]가 [54]. HD [55]
[56]가 [57]. HD [58]가 [59]
[60] (NfL)가 [61]. .

“HD [62]
[63]가 [64]. HD [65]
[66] (NfL)가 [67]. .”

Dr. Tabrizi [68] [69] HD-
ISS([70]) [71] (<https://en.hdbuzz.net/325>).

HD-ISS [72]가 [73]가 [74] HD [75] 0 [76] 4 [77]. [78]
[79] HD [80]. [81], [82]
[83] HD [84]

HD [85]가 [86] HD [87]

HD-ISS가 20,000가 CAG가 HD가

HD-ISS HD HD가 HD-ISS

Sarah HD-ISS HD가

Tominersen Roche

Roche Peter McColgan Peter tominersen



HDBuzz가

Peter GENERATION-HD1 Roche가 HD가 HTT

III가 8 16 120mg. . ,

NfL가

Peter가! Roche

Peter CSF toinersen CSF HTT가 Roche CSF HTT가

Peter tominersen CSF NfL가 NfL가 tominersen CSF NfL?

Roche, NfL가 tominersen가 NfL가 HTT

가가

“CAG가 Roche tominersen ... Roche HD CAG가”

가가가 Peter

Roche가가 tominersen “(on-target)” “(off-target)”

Peter “”

CAG 길이가 짧을수록 발병 위험이 낮고, 길이가 길수록 발병 위험이 높습니다. Roche는 tominersen이 CAG 길이를 줄여줌으로써 발병 위험을 낮추고, 발병 후 진행을 늦추는 데 도움을 줄 것이라고 기대합니다. Roche는 tominersen이 HD 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다.

2차 시험은 "tominersen이 발병 후에도 효과를 보일 수 있다"는 것을 증명할 것입니다. tominersen은 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다. 가령, 발병 후 16주에 tominersen을 100mg 또는 60mg로 투여하면 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다. GENERATION-HD1은 Roche에서 진행 중인 HD 임상 시험 중 하나이며, HD 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다. 16주에 tominersen을 투여할 예정입니다.

Roche는 tominersen이 HD 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다. Roche는 tominersen이 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다.

발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다. 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다!

발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다. #HDF2022 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다. 9월 15일 EST 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다! Facebook, Instagram, Twitter에서 HDF 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다.

발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다. FAQ...

■ ■ ■ ■

발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다

CAG 길이를 줄여줌으로써 발병 위험을 낮추고, 발병 후 진행을 늦추는 데 도움을 줄 것이라고 기대합니다

CAG 길이를 줄여줌으로써

DNA, RNA(발병 위험), 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다. 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다. 가령, 발병 후 16주에 tominersen을 100mg 또는 60mg로 투여하면 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다.

CSF 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다.

HD 발병 후에도 효과를 보일 수 있다고 기대합니다

