

## Roche gibt Update zum Tominersen-Programm bei manifester Huntington-Krankheit (HK)

- **Verabreichung der Studienmedikation in klinischer Phase-III-Studie mit Tominersen nach Empfehlung eines unabhängigen Datenüberwachungskomitees (iDMC) gestoppt**
- **Bei der Überprüfung durch das iDMC wurden keine neuen Sicherheitssignale für Tominersen identifiziert**

Basel, 22 März 2021 - Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) gab heute die Entscheidung bekannt, die Verabreichung der Studienmedikation in der Phase-III-Studie GENERATION HD1 mit Tominersen bei manifester Huntington-Krankheit (HK) zu beenden. Die Entscheidung basiert auf den Ergebnissen einer vorab geplanten Überprüfung der Daten aus der Phase-III-Studie, die von einem unverblindeten unabhängigen Datenüberwachungskomitee (Independent Data Monitoring Committee, iDMC) durchgeführt wurde. Das iDMC gab seine Empfehlung auf der Grundlage des potenziellen Nutzen-Risiko-Profiles der Prüfmedikation für die Studienteilnehmer ab. Bei der Überprüfung der Daten aus dieser Studie wurden keine neuen oder neu auftretenden Sicherheitssignale für Tominersen identifiziert. Roche beabsichtigt, die Studienteilnehmer weiterhin auf Sicherheit und klinische Ergebnisse zu beobachten, ohne jedoch das Prüfpräparat oder Placebo zu verabreichen. Sobald die vollständigen Daten der Phase-III-Studie vorliegen und ausgewertet sind, wird Roche die Huntington-Gemeinschaft über die gewonnenen Erkenntnisse und zukünftigen Pläne informieren.

Die Verabreichung von Tominersen in der offenen Verlängerungsstudie (GEN-EXTEND) mit Tominersen wird pausiert, solange die Daten sorgfältig analysiert werden, um die nächsten Schritte in dieser Studie zu bestimmen.

„Dies ist eine sehr bedauerliche Nachricht, die wir zur Phase-III-Studie mit Tominersen überbringen müssen, und wir wissen, dass es für Menschen mit der Huntington-Krankheit besonders schwer sein wird, diese Nachricht zu erfahren. Die Huntington-Gemeinschaft verfügt derzeit über keine Behandlungsmöglichkeiten, um das Fortschreiten dieser seltenen neurodegenerativen Erkrankung, die Familien über Generationen hinweg betrifft, zu stoppen oder zu verlangsamen“, so Levi Garraway, M.D., Ph.D., Chief Medical Officer und Leiter der globalen Produktentwicklung von Roche. „GENERATION HD1 ist die bisher größte klinische Studie zur Huntington-Krankheit, und wir wissen, dass die gewonnenen Daten unser Verständnis der Reduktion von Huntingtin als potenziellen Behandlungsansatz deutlich voranbringen werden. Wir möchten allen an der Studie teilnehmenden Personen und Familien für ihren Beitrag sowie der gesamten Huntington-Gemeinschaft für ihr Engagement und ihre Zusammenarbeit danken.“

Die Phase-I-PK/PD-Studie (GEN-PEAK) mit Tominersen und die beobachtende Roche HD Natural History Study werden fortgesetzt.

## Über Tominersen und die klinischen Studien

Tominersen, ehemals IONIS-HTTRx oder RG6042, ist eine in der klinischen Prüfung befindliche Antisense-Therapie, die die Produktion aller Formen des Huntingtin-Proteins (HTT), einschließlich seiner mutierten Variante mHTT, reduzieren soll. Im Dezember 2017 lizenzierte Roche die Prüfsubstanz von Ionis Pharmaceuticals.

Tominersen wird bei HD in den folgenden klinischen Studien untersucht:

- GENERATION HD1: eine randomisierte, multizentrische, doppelblinde, placebokontrollierte klinische Phase-III-Studie, die die Wirksamkeit und Sicherheit der Behandlung mit Tominersen bei Menschen mit manifester HD über 25 Monate untersucht. Die Studienteilnehmer wurden randomisiert und erhielten entweder alle 2 Monate 120 mg oder alle 4 Monate 120 mg als intrathekale Injektion von Tominersen oder Placebo. Für die Studie wurden 791 Teilnehmer aus 18 Ländern auf der ganzen Welt rekrutiert.
- GEN-EXTEND: eine Open-Label-Erweiterungsstudie für Teilnehmer, die aus einer beliebigen HD-Studie von Roche kommen. Die Teilnehmer erhalten 120 mg Tominersen alle 2 Monate oder alle 4 Monate in der Studie.
- GEN-PEAK: eine Phase-I-Studie mit dem Ziel, die Pharmakokinetik von Tominersen besser zu verstehen und wie Tominersen den mHTT-Spiegel und andere Marker im Liquor und im Blut beeinflusst. In dieser Studie werden verschiedene Dosierungen von 30 mg bis 120 mg Tominersen über zwei Verabreichungen untersucht.

### Über Huntington-Krankheit

Die Huntington-Krankheit (HK) ist eine seltene, genetisch bedingte, fortschreitende Erkrankung, bei der Nervenzellen im Gehirn zerstört werden, was bei den Betroffenen zu Problem bei der Denk-, Bewegungs- und Funktionsfähigkeit führt, was wiederum eine zunehmende Behinderung und den Verlust der Unabhängigkeit zur Folge hat. Dies führt zu einer zunehmenden Behinderung und dem Verlust der Selbstständigkeit. Die Krankheit hat verheerende Auswirkungen auf die Betroffenen, und die Vererbbarkeit von HK bedeutet, dass sie ganze Familien über Generationen hinweg tiefgreifend beeinträchtigt. Die Überlebenszeit beträgt etwa 10 bis 20 Jahre nach dem Beginn der Erkrankung. Es gibt keine bekannte Heilung für die HK und keine zugelassenen Therapien, die die zugrunde liegende Ursache behandeln.

### Über Roche in den Neurowissenschaften

Die Neurowissenschaften sind ein wichtiger Schwerpunkt der Forschung und Entwicklung bei Roche. Ziel des Unternehmens ist es, bahnbrechende Wissenschaft zu betreiben, um neue Therapien zu entwickeln, die das Leben von Menschen mit chronischen und potenziell folgenschweren Krankheiten verbessern helfen.

Roche verfügt über mehr als ein Dutzend in der klinischen Prüfung befindliche Medikamente für neurologische Erkrankungen, darunter Multiple Sklerose, spinale Muskelatrophie, Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen, Alzheimer, Huntington, Parkinson, Duchenne-Muskeldystrophie und Autismus-Spektrum-Störung. Gemeinsam mit unseren Partnern setzen wir uns dafür ein, die Grenzen des wissenschaftlichen Verständnisses zu erweitern, um einige der schwierigsten Herausforderungen der Neurowissenschaften von heute zu lösen.

### Über Roche

Roche ist ein globaler Pionier in den Bereichen Pharma und Diagnostik und ist darauf fokussiert, die Wissenschaft voranzutreiben, um Menschen ein besseres Leben zu ermöglichen. Dank der beiden Geschäftsbereiche Pharma und Diagnostika unter einem Dach ist Roche führend in der personalisierten Medizin - einer Strategie mit dem Ziel, jeder Patientin und jedem Patienten die richtige und bestmögliche zukommen zu lassen.

Roche ist das weltweit größte Biotech-Unternehmen mit differenzierten Medikamenten für die Onkologie, die Immunologie, Infektionskrankheiten, die Augenheilkunde und Erkrankungen des Zentralnervensystems. Roche ist auch weltweit führend in der In-vitro-Diagnostik und der gewebebasierten Krebsdiagnostik und ein Pionier im Diabetesmanagement.

Seit der Gründung im Jahr 1896 erforscht Roche bessere Wege, um Krankheiten zu verhindern, zu diagnostizieren und zu behandeln und leistet einen nachhaltigen Beitrag für die Gesellschaft. Zum Ziel des Unternehmens gehört es durch Kooperationen mit allen relevanten Partnern, den Zugang von Patienten zu medizinischen Innovationen zu verbessern. Auf der Liste der unentbehrlichen Medikamente der Weltgesundheitsorganisation stehen mehr als dreißig von Roche entwickelte Medikamente, darunter lebensrettende Antibiotika, Malariamittel und Krebsmedikamente. Ausgezeichnet wurde Roche zudem zum zwölften Mal in Folge als eines der nachhaltigsten Unternehmen innerhalb der Pharmaindustrie im Dow Jones Sustainability Index (DJSI).

Die Roche-Gruppe mit Hauptsitz in Basel, Schweiz, ist in über 100 Ländern tätig und beschäftigte 2020 weltweit mehr als 100.000 Mitarbeiter. Im Jahr 2020 investierte Roche 12,2 Milliarden CHF in Forschung und Entwicklung und erzielte einen Umsatz von 58,3 Milliarden CHF. Genentech in den Vereinigten Staaten gehört vollständig zur Roche-Gruppe. Roche ist Mehrheitsaktionär von Chugai Pharmaceutical, Japan. Weitere Informationen finden Sie unter [www.roche.com](http://www.roche.com).

Alle in dieser Mitteilung verwendeten oder erwähnten Marken sind gesetzlich geschützt.

### Roche Group Media Relations

Telefon: +41 61 688 8888 / E-Mail: [media.relations@roche.com](mailto:media.relations@roche.com)

Dr. Nicolas Dunant  
Telefon: +41 61 687 05 17

Patrick Barth  
Telefon: +41 61 688 44 86

Dr. Daniel Grotzky  
Telefon: +41 61 688 31 10

Karsten Kleine  
Telefon: +41 61 682 28 31

Nina Mählietz  
Telefon: +41 79 327 54 74

Nathalie Meetz  
Telefon: +41 61 687 43 05

Dr. Barbara von Schnurbein  
Telefon: +41 61 687 89 67

<b>Roche Investor Relations</b>	
Dr. Karl Mahler	Jon Kaspar Bayard
Telefon: +41 61 68-78503 E-Mail: <a href="mailto:karl.mahler@roche.com">karl.mahler@roche.com</a>	Telefon: +41 61 68-83894 E-Mail: <a href="mailto:jon_kaspar.bayard@roche.com">jon_kaspar.bayard@roche.com</a>
Dr. Sabine Borngräber Telefon: +41 61 68-88027 E-Mail: <a href="mailto:sabine.borngraeber@roche.com">sabine.borngraeber@roche.com</a>	Dr. Bruno Eschli Telefon: +41 61 68-75284 E-Mail: <a href="mailto:bruno.eschli@roche.com">bruno.eschli@roche.com</a>

**F. Hoffmann-La Roche  
Ltd**

4070 Basel

Group Communications

Tel. +41 61 688 88 88

Schweiz

Roche Group Media Relations

[www.roche.com](http://www.roche.com)

Dr. Birgit Masjost Telefon: +41 61 68-84814 E-Mail: <a href="mailto:birgit.masjost@roche.com">birgit.masjost@roche.com</a>	Dr. Gerard Tobin Telefon: +41 61 68-72942 E-Mail: <a href="mailto:gerard.tobin@roche.com">gerard.tobin@roche.com</a>
<b>Investor Relations North America</b>	
Loren Kalm Telefon: +1 650 225 3217 E-Mail: <a href="mailto:kalm.loren@gene.com">kalm.loren@gene.com</a>	Dr. Lisa Tuomi Telefon: +1 650 467 8737 E-Mail: <a href="mailto:tuomi.lisa@gene.com">tuomi.lisa@gene.com</a>