

## Charla real: Preguntas y respuestas con Roche sobre GENERATION-HD1

El equipo de HDBuzz se sentó (virtualmente) para una sesión de preguntas y respuestas en profundidad con el equipo de Roche con el fin de responder las preguntas sobre Tominersen y la reciente suspensión de la prueba GENERATION-HD1

Por la Dra. Sarah Hernandez y la Dra. Leora Fox 28 de septiembre de 2021 Editado por el Dr. Jeff Carroll

---

**A**l final del día 1 de la conferencia de la Red Europea de Enfermedad de Huntington (EHDN), el equipo de HDBuzz (menos uno) se sentó a charlar por zoom con el equipo de Roche para tener una discusión franca y sincera sobre la reciente interrupción de GENERATION-HD1, el ensayo clínico de fase 3 que estaba probando la capacidad del oligonucleótido antisentido tominersen para reducir la HTT y mejorar los resultados en pacientes con HD.

Hablamos con la Dra. Lauren Boak, líder de desarrollo global del programa Tominersen en Roche, David West, director de asociación de pacientes en la organización de asociación de pacientes globalde Roche, y Janet Rafferty, líder de comunicaciones internacionales que gestiona las comunicaciones externas para el programa de Huntington en Roche.

A continuación, encontrará copias de las preguntas que le hicimos al personal de Roche y un resumen de sus respuestas, extraído de una transcripción automática de la entrevista grabada. Las citas directas del personal de Roche se indican con “comillas”, todo lo que se encuentra fuera de esas citas son resúmenes escritos por escritores de HDBuzz, en lugar de citas directas de cualquier persona de Roche.



*Los ensayos de la envergadura de GENERATION-HD1 producen una gran cantidad de datos: el equipo de Roche ahora tiene la tarea con la organización y el análisis de más de 40.000 muestras, cada una con alrededor de 20.000 parámetros.*

## Comprender el estado actual del ensayo:

**P:** Si bien la dosificación para el ensayo se ha detenido oficialmente, el ensayo en sí está en curso. ¿Podría explicar el estado actual del ensayo?

**R:** Como es la práctica habitual por razones de seguridad, un comité de monitoreo de datos independiente tuvo acceso y estaba revisando todos los datos del ensayo GENERATION-HD1. En marzo, este comité recomendó suspender la dosificación, pero continuar con el seguimiento de los pacientes para comprender mejor el impacto del tratamiento en los pacientes que recibieron el medicamento tominersen.

Lauren Boak de Roche explicó: "El estudio continuará realizando un seguimiento de los pacientes dentro del marco del estudio, de modo que cuando vengan a visitar el centro, sus médicos los seguirán para la seguridad general, la revisión de seguridad y las medidas de resultado clínico que se mencionaron durante el transcurso del ensayo clínico... Es una parte realmente importante de su evaluación de lo que sucedió en GENERATION-HD1".

La participación continua de los inscritos en el estudio permitirá a Roche extraer tantos datos valiosos como sea posible para la inversión de Roche y de las comunidades en GENERATION-HD1. Esto será fundamental para comprender cómo el tominersen afectó a los pacientes con EH, incluso si no tuvo el resultado que todos esperábamos. Estos tipos de conjuntos de datos integrales ayudarán a guiar los ensayos futuros. Entonces, aunque la dosificación para el ensayo se ha detenido, el estudio no ha finalizado formalmente y está en curso.

## Comprender los datos que detuvieron el juicio

**P:** ¿Podría recapitular la línea de tiempo de los eventos que llevaron a la detención de GENERATION-HD1? ¿Cómo funciona el proceso para comunicar los hallazgos del comité de revisión independiente a Roche y, en última instancia, a los médicos y la comunidad?

**R:** Para GENERATION-HD1, el comité de revisión independiente se reunió cada 4 meses para revisar los datos del ensayo que se habían recopilado hasta ese momento. A diferencia de cualquier otro miembro de Roche, el comité de revisión evaluó los datos no cegados; esto significa que sabían a qué grupo de tratamiento, ya sea de tratamiento o de control, se asignó a cada paciente.

Durante una reunión del comité de revisión programada regularmente el jueves 18 de marzo, "hicieron la evaluación de que la información en los datos indicaba que la dosificación debería detenerse en todos los brazos [del ensayo]", dijo Lauren.

"Lauren dice: "Por lo tanto, todavía no estamos en condiciones de compartir los datos porque no queremos compartirlos en pedazos ... Realmente queremos asegurarnos de que cuando compartamos los datos con la comunidad que podamos dar la mayor explicación o descripción y comprensión de lo que significan estos datos [como sea posible]"."

Luego, esa decisión se compartió con un pequeño equipo de Roche, que se tomó el fin de semana para organizar las comunicaciones comunitarias. El lunes 22 de marzo, Roche anunció que la dosificación en el ensayo GENERATION-HD1 se detendría en un comunicado de prensa.

También desarrollaron un canal de comunicación coordinado, de modo que justo después de que se publicó el comunicado de prensa, informaron a los líderes del ensayo para que pudieran informar a los participantes del ensayo. También ese lunes, Roche envió cartas a la comunidad y tuvo llamadas con grupos de defensa de pacientes.

Pero como todos sabemos, las noticias viajan rápido, ya sean buenas o malas. Y noticias de esta magnitud significaron que algunos miembros de la comunidad de HD e incluso los participantes del ensayo se enteraron de que GENERATION-HD1 estaba siendo detenido por vías no oficiales. Lauren explica: "Entendemos que fue sorprendente que algunas personas recibieran esta información de fuentes que no esperaban. Pero estábamos limitados por la situación en la que nos encontramos. Pero nos comunicamos lo más rápido posible dadas las circunstancias".

Puede que no sea obvio, pero una de las razones por las que la noticia no se puede compartir de inmediato con los líderes del ensayo y los participantes del ensayo tiene que ver con las reglas y regulaciones que las empresas deben seguir para no influir injustamente en el mercado de valores. Con un estudio de este tamaño y magnitud, cualquier información relacionada con el fracaso o el éxito del medicamento podría influir en los precios de las acciones. Por eso, con noticias como esta, las empresas están obligadas a realizar un comunicado de prensa antes de informar directamente y comunicarse con cualquier persona sobre los resultados.

**P: ¿Cuáles son los próximos pasos para analizar, publicar y compartir los datos de la prueba GENERATION-HD1 en curso? ¿Cómo se distribuirá esa información a la comunidad – tanto a los científicos como a las familias?**

R: GENERATION-HD1 es un gran ensayo con muchos datos. Además, nadie estaba planeando que la dosificación se detuviera cuando lo hizo. Así que mientras se pensaba que habría más tiempo para implementar un plan para el análisis de datos, eso en realidad debe suceder ahora. Y será todo un esfuerzo.

El primer paso es identificar todas las muestras que se recolectaron en cada lugar del mundo y enviarlas a una ubicación central. Lauren explica: "Y esa ha sido una gran, gran tarea. Tenemos más de 40.000 muestras en este estudio". Esas muestras incluyen muestras de pacientes, como sangre y líquido cefalorraquídeo, que requerirán un envío y manipulación especial.

Después de la recolección y envío de la muestra, el siguiente paso será el análisis de datos. Roche quiere recopilar tanta información como sea posible con estos datos, por lo que están planificando un análisis muy completo utilizando muchas métricas diferentes. Solo algunas de las cosas que observarán son los niveles de proteína HTT, NfL y cómo el tominersen se mueve por todo el cuerpo desde la punción lumbar hasta el cerebro. "De hecho, tenemos más de 20.000 resultados diferentes, porque hay muchos parámetros diferentes para evaluar", dijo Lauren.

¡Analizar 20.000 parámetros de más de 40.000 muestras es un conjunto de datos masivo en cualquier caso! Para que este análisis se lleve a cabo lo más rápido posible, Roche tiene a cientos de personas mirando los datos y está utilizando un enfoque por etapas en el que las muestras se ejecutarán en lotes.



*Para obtener el mayor conocimiento posible de GENERATION-HD1, los miembros del equipo de Roche estudiarán detenidamente los datos después del análisis para comprender exactamente cómo el tominersen estaba afectando a los que fueron tratados. Un amplio conjunto de datos de este tamaño también les permitirá aprender mucho sobre el curso general de la enfermedad de Huntington.*

Una vez analizados los datos, es necesario examinarlos todos para tratar de comprender lo que significan. Esta es la parte más crítica porque pone todos los datos en contexto. Una vez que Roche tenga esta última pieza, compartirán lo que han aprendido con la comunidad. Lauren dice: "Por lo tanto, todavía no estamos en condiciones de compartir los datos porque no queremos compartirlos en pedazos ... Realmente queremos asegurarnos de que cuando compartamos los datos con la comunidad que podamos dar la mayor explicación o descripción y comprensión de lo que significan estos datos [como sea posible]".

**P: ¿Hay una fecha prevista en la que espera que se complete todo el proceso? ¿Cuándo pueden esperar los pacientes, los médicos y otros miembros de la comunidad de la EH tener acceso a la información del ensayo?**

R: Desafortunadamente, esto no es algo de lo que nadie en Roche sepa la respuesta ahora mismo, dada la enorme tarea que tienen para analizar todos los datos y muestras que han recogido. Como todos hemos aprendido en la comunidad de la EH, la ciencia no puede avanzar lo suficientemente rápido. Lauren dice: "Pero tenga la seguridad de que estamos haciendo lo mejor que podemos, con la mayor urgencia posible, y lo compartiremos con la comunidad tan pronto como podamos".

**P: ¿Qué lecciones se extraerán de GENERATION-HD1? ¿Cómo influirán esas lecciones en los futuros ensayos que se realicen?**

R: Los ensayos clínicos están diseñados para examinar preguntas muy concretas con criterios de valoración muy específicos. Esto es así para que al final de los ensayos clínicos, los datos se puedan usar para demostrar que los resultados fueron causados inequívocamente por el tratamiento que se está probando. Debido a que GENERATION-HD1 fue un ensayo centrado específicamente en tominersen, gran parte de lo que aprenderemos será específicamente sobre tominersen.

GENERATION-HD1 también se diseñó para tratar a personas con síntomas claros de la EH. Por lo tanto, los resultados que se miden en este ensayo nos dirán específicamente cómo funcionó el tominersen en esta población de pacientes.

El diseño del ensayo GENERATION-HD1 fue muy minucioso, recogiendo muchas muestras en varios puntos de tiempo durante un período prolongado, incluso en el grupo placebo o control. De modo que los investigadores pueden observar a los participantes en el grupo de placebo para analizar el curso de la enfermedad como ocurre generalmente.

Si bien esto puede parecer trivial, estos análisis por sí solos proporcionarán un conjunto de datos completo y crítico para comprender la trayectoria de la EH utilizando mediciones muy sofisticadas. “La calidad de los datos será muy alta. Y eso será muy valioso para [el campo de la EH], comprenderla historia natural general de los cambios de estos de estos marcadores en la EH”, explica Lauren.

## ¿Y si Tominersen es beneficioso para un subconjunto de pacientes?

“Si bien Roche comprende que todavía puede haber pacientes que quieran usar o continuar usando tominersen, los datos no respaldan un beneficio de riesgo positivo para el uso de tominersen en la EH. No hay oportunidades de uso compasivo para el uso de tominersen, porque hasta ahora no tenemos evidencia de que haya mejorado los síntomas de la EH de nadie, y desgraciadamente podría haber empeorado algunos.”

**P: ¿Es posible que tominersen haya funcionado para algunas personas y no para otras? ¿Está Roche realizando el tipo de análisis que analizará los subgrupos de participantes que pueden haberse beneficiado de tominersen?**

R: La respuesta corta para esto es sí, y Roche está analizando los datos de una manera que determinará si el tominersen tuvo diferentes efectos para diferentes personas. Lauren dice: “Estamos analizando cuáles son las características de los pacientes en el momento inicial cuando [los participantes] comenzaron este estudio o las diferentes etapas de la enfermedad en la que se encuentran y si eso significa que tienen una respuesta diferente a las distintas dosis probadas en GENERATION-HD1”.

**P: ¿Pueden las personas que recibieron tominersen en GENERATION-HD1 o la extensión de etiqueta abierta que sintieron que les beneficiaba, solicitar un acceso ampliado a pesar de que la dosificación se detuvo en los ensayos?**

R: Desafortunadamente, la respuesta corta para esta pregunta es no. Si bien Roche comprende que todavía puede haber pacientes que quieran usar o continuar usando tominersen, los datos no respaldan un beneficio de riesgo positivo para el uso de tominersen en la EH. No hay oportunidades de uso compasivo para el uso de tominersen, porque hasta ahora no tenemos evidencia de que haya mejorado los síntomas de la EH de nadie, y desafortunadamente podría haber empeorado algunos.

## Finalización del ensayo

**P: ¿Los participantes de GENERATION-HD1 permanecen en el ensayo a pesar de que la dosis ha terminado?**

R: No es de extrañar que la comunidad de la EH sea fantástica; solo a través del apoyo y la participación de los pacientes y sus familias con la EH, la investigación sobre la EH ha llegado tan lejos. Lauren dice: "Podemos compartir que más del 85% de los pacientes permanecieron en GENERATION-HD1 para completar su período [sin] tratamiento durante los 25 meses, lo cual es increíble". Cualquiera que sea el resultado de esta prueba, las familias de HD que participaron han prestado un gran servicio al resto de la comunidad, incluso si no les beneficia personalmente. Les debemos una profunda gratitud.

**P: ¿Cómo cree que afectará la experiencia de GENERATION-HD1 en el reclutamiento de ensayos futuros dentro de la comunidad de HD para Roche u otras compañías?**

R: Desafortunadamente, los ensayos clínicos no tienen un resultado garantizado; los ensayos clínicos se realizan para evaluar *si* un fármaco funcionará, sin importar cuánta investigación se haya realizado antes en el laboratorio. Si bien GENERATION-HD1 no terminó como todos queríamos, todavía hemos aprendido mucho. No solo en función de los datos generados por la prueba, sino también en función de la experiencia del participante.



*GENERATION-HD1 ha subrayado cuán resistente es la comunidad de la EH: el 85% de los valientes miembros de la comunidad de la EH que se ofrecieron como voluntarios para este ensayo siguen inscritos para el seguimiento, para que todos puedan aprender tanto como sea posible de esta prueba.*

Lauren dice: "Significa que la gente estará más informada sobre el potencial, los altibajos, que no hay garantía. Es por eso que necesitamos hacer estos estudios clínicos". Entonces, aunque algunos miembros de la comunidad pueden ser más cautelosos con el próximo ensayo, también pueden hacer preguntas más informadas sobre la participación en el ensayo, lo cual es algo bueno.

## **El futuro del descubrimiento de fármacos para la EH y el tominersen en Roche:**

**P: ¿Roche tiene planes de seguir desarrollando el tominersen? ¿Existen otras terapias generales para la EH o para la reducción de la HTT que Roche esté desarrollando?**

R: Actualmente, se desconoce el destino del tominersen, porque todavía queda mucho trabajo por hacer para comprender por qué el fármaco no estaba produciendo el efecto deseado. Roche estará esperando a ver qué dicen los datos antes de tomar una decisión sobre si continuar trabajando con tominersen y cómo hacerlo. Lauren dice: "Esa información aún no está disponible. No tenemos la respuesta. No tengo la respuesta. Pero obviamente lo compartiremos tan pronto como sea posible".

Pero la respuesta de Roche para seguir trabajando en la terapéutica de la EH es clara: "Independientemente de que el tominersen siga adelante o no, hay esfuerzos continuos en la [enfermedad] de Huntington", dice Lauren. Tienen una campaña bajo el paraguas del Grupo Roche, Spark Therapeutics, que tiene

un programa de EH en etapa inicial que utiliza una tecnología totalmente diferente para reducir los niveles de la proteína Huntingtina. Esto significa que probablemente veremos más del equipo de Roche en lo que respecta a la EH, con o sin tominersen.

**P: Ahora que la gente de Roche ha conocido a las increíbles personas de la comunidad de la EH, ¿cómo se sienten y cómo lidian los que trabajaron en tominersen con la interrupción de GENERATION-HD1?**

R: Probablemente no sea una sorpresa que sea fácil invertir en la investigación de la EH como científico: hay una gran ciencia, se están haciendo cosas geniales y, quizás lo más relevante, la comunidad de la EH es absolutamente asombrosa. Lauren se emocionó al compartir que ver el final prematuro de esta prueba ha sido muy difícil para ella y para el equipo ampliado de Roche. Ella dice: "Fue un golpe muy, muy grande emocionalmente, porque todos hemos puesto nuestro corazón y nuestra alma en ello".

Lauren dijo que ella y otras personas recibieron apoyo de la comunidad de HD, superada por el agradecimiento de que se pensara en ella y en los miembros del equipo de Roche en un momento en que toda la comunidad estaba en estado de shock por la interrupción de GENERATION-HD1. El reconocimiento inesperado de que los de Roche también estaban devastados por la noticia es un testimonio de la capacidad de recuperación de la increíble comunidad de la EH.

Pero no hubo tiempo de inactividad en Roche. La detención de GENERATION-HD1 significó que les quedaba mucho trabajo por hacer. Tratando de entender lo que sucedió en la prueba, Lauren dice que se enfrentaron a "volver a montar sobre el caballo, ...tenemos que ejecutar estos análisis, tenemos que hacer que todo funcione".

"Pero la respuesta de Roche para seguir trabajando en la terapia de la EH es clara: "Independientemente de que el tominersen siga adelante o no, hay esfuerzos continuos en la [enfermedad] de Huntington", dice Lauren. "

## ¿Qué significa esto para los ensayos clínicos futuros?

**P: ¿Qué podemos aprender de GENERATION-HD1, no solo del proceso de diseño del ensayo y los resultados finales del estudio, sino también sobre la interacción con la comunidad de HD? Con el beneficio de la retrospectiva, ¿podría haberse hecho algo de manera diferente?**

R: A pesar del resultado inesperado del estudio, aprenderemos mucho de GENERATION-HD1, sobre la EH, sobre la forma en que funcionan los ASO y sobre cómo podemos mejorar la próxima vez. Todo el campo se beneficiará de una nueva comprensión de cómo incorporar biomarcadores digitales como datos de relojes y teléfonos inteligentes, asegurando la captura de las evaluaciones diarias en el hogar y cómo hacerlo más fácil para las personas con EH, y cómo reclutar con éxito y sin problemas un ensayo de esta envergadura en más de 100 centros de todo el mundo.

En cuanto a la cuestión de la retrospectiva, Lauren Boak subrayó que, como con todos los ensayos, "el diseño se basó en la información que conocíamos en ese momento", pero reconoció que podría haber habido diferentes formas de elegir la cantidad y la frecuencia de la dosificación en el estudio. Esto

fue reiterado durante una presentación en la conferencia EHDN por el Dr. Scott Schobel, Director Médico del Grupo y Líder de Ciencias Clínicas del programa tominersen de Roche.

Quizás lo más importante es que las empresas que trabajan en el ámbito de la EH pueden aprender del compromiso de Roche de incorporar los comentarios de los miembros de la familia de la EH desde una etapa temprana en el proceso de realización del estudio. "Estamos muy contentos de poder asociarnos con la comunidad, incluso en los aspectos de diseño clínico y planificación de esto, y ha sido muy, muy gratificante y enriquecedor para nosotros. Eso es algo de lo que esperamos que otros aprendan, porque creo que fue muy, muy útil para nuestro programa... para cosas como la revisión del protocolo, cómo los pacientes perciben ciertas cosas, cómo se hacen las preguntas en ciertas evaluaciones y la carga en los centros clínicos."

Roche ha trabajado con miembros de HD-COPE y organizaciones de pacientes para compartir lo que han aprendido a través de asociaciones comunitarias, de modo que otros investigadores puedan incorporar esto en ensayos futuros. Estos hallazgos también se presentaron formalmente en un póster en EHDN.

**P: ¿Cómo está tomando en cuenta Roche las experiencias de los participantes del ensayo que pueden quedar fuera de los análisis estándar?**

R: Desde el lanzamiento de la noticia en marzo, muchos miembros de la comunidad han compartido historias personales sobre sus propias experiencias o las de sus seres queridos al participar en GENERATION-HD1. Estas anécdotas han llegado a Roche directamente, a través de los investigadores y profesionales del sitio involucrados en el estudio, y a través de organizaciones de pacientes. "Algunas de las [anécdotas] que regresan son, mi lectura ha sido mejor o he podido seguir una receta", dijo David West. Roche se ha mantenido abierto a escuchar estas experiencias, pero el diseño de GENERATION-HD1 incorporó muchas evaluaciones para capturar tales resultados y otros importantes para los afectados por la EH. Estas evaluaciones planificadas previamente son de suma importancia para comprender el impacto del tominersen en muchos aspectos de la vida cotidiana con la EH. Como explicó Lauren Boak, "La forma en que se debe realizar un estudio como este es que [la información] debe capturarse de manera sistemática". Es difícil comparar las anécdotas individuales con los resultados generales de los casi 800 participantes de GENERATION-HD1. Por esa razón, ver el estudio completo hasta su finalización será la mejor manera de obtener respuestas y orientar las futuras pruebas de HD.

**P: Más allá de terminar y seguir con el análisis del estudio GENERATION-HD1, ¿qué está haciendo Roche en el espacio de investigación de la EH y en apoyo de la comunidad de la EH?**

R: El compromiso de Roche con la comunidad de la EH, además de la finalización de los estudios que investigan el tominersen, se centra en comprender mejor la EH presintomática y juvenil, y en mejorar la participación en la investigación y el proceso regulador. Por ejemplo, están apoyando JOIN-HD, un registro para pacientes y cuidadores afectados por la EH juvenil, que fue lanzado recientemente por la Organización Juvenil de la Enfermedad de Huntington. También están patrocinando el proyecto Moving Forward de la Asociación Europea de Huntington, cuyo objetivo es involucrar a más personas de familias con EH en la investigación y mejorar el reclutamiento. Roche también participa en el Consorcio Regulador de la Enfermedad de Huntington, centrado en reunir



a la industria y al mundo académico para acelerar el proceso de comercialización de fármacos para la EH e incorporar las aportaciones de las familias y los nuevos conocimientos sobre la EH en la toma de decisiones. "Este es un esfuerzo realmente importante... para poder realizar ensayos clínicos en poblaciones de pacientes tempranos, nuevos criterios de valoración y desarrollo de biomarcadores, cosas que son realmente útiles para hacer avanzar el campo juntos, para tratar de resolver estos problemas en torno a los poderes regulatorios. Y eso es en colaboración con el Critical Path Institute, la FDA y el CHDI".

En cuanto a la participación directa en nuevas vías de investigación de la EH, Roche anunció recientemente una asociación entre su empresa de terapia génica adquirida, Spark Therapeutics, y una pequeña empresa de biotecnología llamada NeuExcell. Un artículo anterior de Buzz cubrió este trabajo, que se enfoca en convertir las células de soporte del cerebro en neuronas que potencialmente podrían reemplazar las perdidas por la EH. Roche también apoya muchos esfuerzos educativos y de recaudación de fondos a través de organizaciones de atención a pacientes en todo el mundo.

## Mensaje para llevar a casa

Como todos en la comunidad, en HDBuzz estamos profundamente entristecidos por la falta de beneficio observado en la prueba GENERATION-HD1. Después de hablar con la gente de Roche y de tener una idea de su compromiso, y de aprender todo lo que podamos de este desafortunado resultado, nos sentimos un poco mejor. Estén atentos a HDBuzz para obtener más actualizaciones sobre tominersen, pero también otras emocionantes pruebas en proceso de EH.

---

*Los autores declaran no tener ningún conflicto de intereses. Para obtener más información sobre nuestra política de divulgación, consulte nuestras Preguntas frecuentes ...*

---

## GLOSARIO

**ASO** Un tipo de tratamiento de silenciamiento génico en el que se utilizan moléculas de ADN especialmente diseñadas para desactivar un gen.

**LCR** Líquido transparente producido por el cerebro, que rodea y sostiene el cerebro y la médula espinal.

**proteína huntingtina** La proteína producida por el gen de la EH.

**ensayo clínico** Experimentos cuidadosamente planeados diseñados para responder preguntas específicas sobre cómo una droga afecta a los seres humanos.

**transcripción** el primer paso para producir una proteína a partir de la receta almacenada en un gen.

La transcripción significa hacer una copia funcional del gen a partir del ARN, un mensajeroquímico similar al ADN.

**Terapia** Tratamiento

**HD juvenil** Enfermedad de Huntington donde los síntomas comienzan antes de los 20 años.

**Abierto** Un ensayo en el que el paciente y el médico saben qué fármaco se está utilizando. Los ensayos de etiqueta abierta son susceptibles de sesgo debido a los efectos placebo.

**Biomarcador** una prueba de cualquier tipo, incluidos análisis de sangre, pruebas de pensamiento y escáneres cerebrales, que puede medir o predecir la progresión de una enfermedad como la EH. Los biomarcadores pueden hacer

ensayos clínicos de nuevos fármacos más rápidos y fiables.

**Neurona** Células cerebrales que almacenan y transmiten información.

**Placebo** Un placebo es un medicamento ficticio que no contiene ingredientes activos. El efecto placebo es un efecto psicológico que hace que las personas se sientan mejor incluso si están tomando una pastilla que no funciona.

**HTT** una abreviatura del gen que causa la enfermedad de Huntington. El mismo gen también se llama HD e IT-15.

---

© HDBuzz 2011–2021. El contenido de HDBuzz es gratuito para compartir, bajo una atribución de Creative Commons–ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz no es una fuente de asesoramiento médico. Para más información visite [hdbuzz.net](https://hdbuzz.net)

Generado el 28 de septiembre de 2021 – Descargado de <https://en.hdbuzz.net/312>