

EUROPEAN
HUNTINGTON'S
DISEASE
NETWORK



Enroll-HD



EHDN i **Enroll-HD** stan
na kwiecień 2015 roku

Dr. n. med. Daniel Zielonka
Koordynator EHDN Polska

Warszawa 18.04.2015

Co to jest Europejska Sieć Choroby Huntingtona?

- Europejska Sieć Choroby Huntingtona (EHDN – European Huntington’s Disease Network) jest organizacją nieochodową prowadzącą badania nad chorobą Huntingtona (HD) na terenie Europy, a działającą na terenie Polski od 2007 roku.
- Stanowi ona wspólną platformę dla lekarzy, naukowców oraz pacjentów i ich rodzin, która ułatwia współpracę pomiędzy tymi grupami społecznymi w celu poszerzania wiedzy o HD, prowadzenia badań, udzielania wsparcia pacjentom i ich rodzinom.
- Celem organizacji jest nie tylko odkrycie lekarstwa na HD ale także poprawa jakości życia pacjentów z HD poprzez umożliwienie wykorzystania i usprawnianie obecnie dostępnych możliwości terapeutycznych i organizacyjnych.
- EHDN jest finansowane przez CHDI Foundation, sponsora badania:



EHDN a Enroll-HD

Po co nam EHDN skoro mamy Enroll-HD?

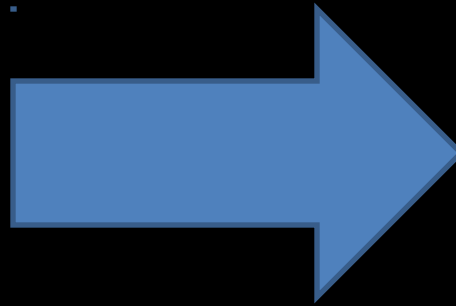
- EHDN pozostanie nadal naszą europejską organizacją skupiającą naukowców, lekarzy i rodziny dotknięte HD i umożliwiającą wspólne prace nad poprawą jakości życia, prowadzenie badań, udzielanie wsparcia pacjentom i rodzinom dotkniętym HD, spotkania towarzyskie osób zainteresowanych działaniami w zakresie HD.
- EHDN tworzy **grupy robocze** skupiające lekarzy i naukowców, którzy są zainteresowani określonym profilem badań nad HD.
- Enroll-HD na terenie Europy jest obsługiwane przez EHDN.
- EHDN administruje badaniem **REGISTRY** i ma prawo do danych z tego badania.

Badania, spotkania i ośrodki badawcze w ramach EHDN

1. Sub-studies - badania naukowe nad określonym aspektem HD dostępne dla uczestników Enroll-HD, w toku:
 - **Badanie JHD**
 - **Badanie jakości życia w HD,**
2. Zjazdy europejskie i światowe poświęcone problematyce HD (**2016 rok zjazd HAGA w Holandii**).
3. EHDN tworzy i administruje ośrodkami badawczymi Enroll-HD w Europie dążąc do stworzenia sieci tzw. **centrów doskonałości**.
4. Granty na **badania naukowe** nad HD do 50 000 Euro i dostęp do danych REGISTRY.



Nowy lider EHDN



- Profesor Jean-Marc Burgunder został nowym przewodniczącym komitetu Sterującego EHDN zastępując na tym stanowisku profesora G. Bernharda Landwehrmeyera, który jest obecnie Głównym Badaczem Enroll-HD.





EUROPEAN **HUNTINGTON'S DISEASE** NETWORK

Badania kliniczne w ramach EHDN dla uczestników Enroll- HD

Badania kliniczne w ramach EHDN

- Trzy aktywne badania:
 - Pride-HD
 - Amaryllis
 - Legato-HD
- Są w Europie Ośrodki w których odbywają się 2 lub 3 badania.



EUROPEAN **HUNTINGTON'S DISEASE** NETWORK

Pride-HD
Teva Pharmaceuticals
ICON

Pride-HD, lewa Pharmaceuticals

CRO: ICON

- Substancja badana: Pridopidina (ACR16, huntexil)
 - Aktywator receptora Sigma-1
 - Oczekiwania: poprawa w TMS
 - Również: poprawa w mPPT
- Faza 2 - ustalenie dawki, bezpieczeństwa i skuteczności,
- Oczekiwana liczba uczestników: 400
- 52 Ośrodków na Świecie
- Kraje uczestniczące:
 - Polska
 - UK
 - Holandia
 - Francja
 - Niemcy
 - Rosja
 - Austria
 - Włochy
 - Australia
 - USA
 - Kanada

Pride-HD

Kryteria włączenia:

- Wiek: ≥ 21 lat
- CAG: ≥ 36
- UHDRS TMS > 25
- UHDRS Independence Scale < 90
- Obecność opiekuna

Kryteria wyłączenia:

- Padaczka/napady drgawkowe
- Choroby kardiologiczne ze zwolnieniem przewodzenia
- Leki pobierane: TBZ, citalopram

Pride-HD badania i wizyty

- Badania:
 - CSSRS, UHDRS, mPPT, HDQoL, PBA-s, CIBIS/CIBIC, PDS, CGI, EQ5D, Walk12, Q-motor, TUG, CAB.
- 12 miesięcy trwania
 - **12 wizyt**
- Wizyty: Baseline, tydzień 4, 12 i 26
 - Czas trwania wizyty: 6 godzin.

Rekrutacja

- 370 pacjentów przebyło wizyty skriningowe,
- 257 pacjentów na leku.
- Zakończenie rekrutacji **MAJ 2015!!!**

Wyzwania rekrutacji

- Czas trwania i częstotliwość wizyt
 - Określony czas podania leku i pobrania krwi wydłuża czas wizyty.
- Potrzeba posiadania opiekuna,
- Leki wykluczające,
- Wsparcie:
 - Rozdzielenie wizyty na 2 dni (TEVA płaci 200 zł za zakwaterowanie)
 - Zwrot za dojazd – karty kredytowe **greenphire**, zwrot pełny (być może będzie można dojeżdżać taksówką nawet z bardzo daleka)



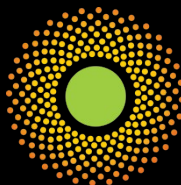


EUROPEAN **HUNTINGTON'S DISEASE** NETWORK

Pfizer - Amaryllis

Pfizer, PDE-10 CRO: Inventiv

- Substancja badana: PDE10 inhibitor (pf-02545920)
 - PDE10A enzym w MSNs prążkowiec, obniżony poziom w HD
 - Oczekiwana poprawa w: TMS
 - Również w: nasileniu plasawicy, GCI,
- Ocena bezpieczeństwa i skuteczności
 - Niemcy (4)
 - UK (13)
 - **Polska (4)**
 - USA (17)
 - Kanada (4)



Pfizer Amaryllyis

- Kryteria włączenia:
 - Wiek: 30-65;
 - CAG: 36 lub więcej;
 - TMS: 10 lub więcej; TFC: 7 lub więcej;
- Kryteria wyłączenia:
 - Choroby serca – wydłużenie przewodzenia
 - Tetrabenzyna, clozapina ...

Amaryllis

- Zwrot kosztów do 200 zł za dojazd.
- Duża częstość i reżim wizyt na początku badania.



EUROPEAN **HUNTINGTON'S DISEASE** NETWORK

Legato-HD
Teva Pharmaceuticals
ICON

Legato-HD

- Substancja badana: Laquinimod
 - Immunomodulujące działanie
 - Oczekiwania: poprawa w TMS
 - Również: poprawa w: objętości jądra ogoniastego, HD-CAB, CIBIC, TFC
- Faza 2 – bezpieczeństwo i skuteczność
- Liczba uczestników: 400
- 30 ośrodków (~12 pacjentów na ośrodek)
- Kraje:
 - Czechy
 - UK
 - Portugalia
 - Hiszpania
 - Holandia
 - Francja
 - Niemcy
 - Włochy
 - Australia
 - USA
 - Kanada

Enroll-HD



Co to jest?
Co nowego?



Otwarte wrota do badań klinicznych





- Enroll-HD — ogólnoświatowe obserwacyjne, prospektywne, wieloośrodkowe badanie nad chorobą Huntingtona otwarte dla każdego pacjenta z HD oraz dla rodzin pacjentów.
- Platforma Enroll-HD służy:
 - Rozwojowi i ocenie nowych metod badania (np.: zaawansowanemu stadium HD, postaci młodzieńczej itp.),
 - Zidentyfikowaniu (kwalifikacji) markerów biologicznych w HD,
 - Znalezieniu potencjalnych uczestników przyszłych badań klinicznych,
 - Wykorzystaniu szczegółowej charakterystyki stanu klinicznego pacjenta i dużej ilości danych celem poprawy opieki nad pacjentami z HD.



Cele badania

Podstawowym celem badania Enroll-HD jest lepsze zrozumienie zmiany obrazu klinicznego pacjentów i patomechanizmów HD poprzez:

- zebranie danych dotyczących zaburzeń poznawczych, zaburzeń zachowania i zaburzeń ruchowych, umożliwiających oszacowanie tempa progresji HD, umożliwiających wgląd w neurobiologię HD;
- zebranie danych i próbek biologicznych w celu określenia genetycznych i środowiskowych czynników wpływających na kształtowanie fenotypu HD i postęp choroby;
- promowanie badań interrogacyjnych, które mogą pomóc w ustaleniu patogenezы HD.



Istotne kwestie dotyczące badania Enroll-HD

- Badanie nie wiąże się z ewentualnym leczeniem ani inwazyjnymi procedurami.
- Wymagane jest odbycie tylko jednej wizyty rocznie.
- Uczestnicy mają możliwość uzyskania informacji o zbliżających się badaniach obserwacyjnych i klinicznych, w tym badaniach dotyczących nowych metod leczenia.



Kto może wziąć udział w badaniu?

- W badaniu może uczestniczyć każdy członek rodziny dotkniętej HD. Obejmuje to:
 - osoby, które wiedzą, że są nosicielami zmutowanego genu, niezależnie od tego czy występują u nich objawy choroby;
 - osoby zagrożone chorobą (które nie przeszły dotychczas badań genetycznych);
 - osoby z HD w wywiadzie rodzinnym, które wiedzą, że nie posiadają zmutowanego genu;
 - małżonkowie/partnerzy (niespokrewnieni) członków rodziny z HD.
- Dzieci z rozpoznaną klinicznie młodzieńczą postacią HD, które nie ukończyły jeszcze 18 lat, mogą wziąć udział w badaniu za zgodą rodzica lub opiekuna prawnego.



Co należy zrobić, aby wziąć udział w badaniu?

- poinformować personel swojego ośrodka o zainteresowaniu udziałem w badaniu Enroll-HD
- wyrazić zgodę na udział w badaniu

Jaki jest czas trwania badania?

- Badanie Enroll-HD jest badaniem bezterminowym, nie ma określonego ostatecznego terminu jego zakończenia, jednak można się z niego w każdej chwili wycofać.
- Uczestnicy będą odbywali jedną wizytę rocznie.



Jaki jest przebieg wizyt badania?

- ❑ Bardzo podobny do przebiegu wizyt badania REGISTRY również pod względem czasu trwania.
- ❑ Podczas każdej wizyty uczestnicy przechodzą serię badań w kierunku zaburzeń ruchowych i zachowania. Ocena funkcjonowania przeprowadzana będzie w celu określenia stopnia samodzielnego wykonywania przez uczestnika pewnych zadań. Uczestnicy odpowiedzą również na pytania oceniające ich stan emocjonalny i jakość życia. Dodatkowo, w czasie każdej wizyty uczestnicy będą mogli oddać małą ilość krwi, aby pomóc naukowcom:
 - zrozumieć dlaczego i kiedy pojawiają się pewne objawy HD,
 - określić możliwości opracowywania nowych i skutecznych leków.



W jaki sposób zabezpieczane są dane uczestników badania?

- Aby zapewnić ochronę prywatności, dane takie jak imię i nazwisko, adres, numer telefonu i inne informacje identyfikujące uczestników nie są udostępniane nikomu poza lokalnymi koordynatorami badania.
- Dla zapewnienia bezpieczeństwa uczestników oraz zachowania poufności ich danych, prowadzenie badań klinicznych, w tym obserwacyjnych, regulowane jest bardzo surowymi przepisami. Obejmuje to usunięcie danych identyfikujących z informacji i próbek przekazywanych przez uczestników i zastosowanie specjalnego kodowania.



- W czasie procesu wyrażania świadomej zgody i przed włączeniem do badania, uczestnicy otrzymują wszystkie dane dotyczące udziału w badaniu.
- Przed przystąpieniem do badania konieczne jest podpisanie dokumentu świadomej zgody. Dokument ten nie jest wiążący i w każdej chwili z dowolnej przyczyny można wycofać się z badania.
- Zachęcamy, aby przed przystąpieniem do tego lub jakiegokolwiek innego badania, porozmawiać o tym ze swoją rodziną.
- Członkowie rodziny mogą towarzyszyć badanemu podczas wizyt badania lub w inny sposób pomagać w czasie udziału w badaniu.
- Zapewnienie sobie wsparcia rodziny może mieć bardzo istotne znaczenie.



- Uczestnicy badania Enroll-HD mogą liczyć na kwotową refundację dojazdów do ośrodków.
- UWAGA: przekazywana pacjentowi jest jedynie pewna stała kwota ryczałtowa zależna od odległości miejsca zamieszkania/pobytu od Ośrodka.
- Środki finansowe są przekazywane uczestnikom badania/ich opiekunom w postaci karty kredytowej **ClinCard** wydawanej na okres pomiędzy wizytami przez koordynatora/osobę uprawnioną w Ośrodku.



Dlaczego powinienem wziąć udział w badaniu?

- Umożliwia ono dołączenie do ogóln światowej społeczności starającej się znaleźć skuteczne metody leczenia HD. Uczestnicy badania są rekrutowani z: Ameryki Północnej, Ameryki Środkowej, Europy, Azji, Australii i Nowej Zelandii.
- Osoby biorące udział w badaniu mają możliwość uzyskania informacji o zbliżających się badaniach obserwacyjnych i klinicznych.

Wspieraj postęp – pomóż w rozwoju badań nad HD

- Enroll-HD Stan badania:

- Świat:

- Liczba państw: 11
 - Liczba ośrodków: 116
 - Liczba uczestników: 5503

- Polska:

- Liczba ośrodków: 6
 - Liczba uczestników: 273



Organizacja EHDN Polska

- Obecnie EHDN w Polsce jest złożona z sześciu Ośrodków przyjmujących i badających pacjentów z rozpoznaną HD oraz z grupy ryzyka, oraz z Ośrodka koordynacyjnego nadzorującego i monitorującego pracę wszystkich sześciu ośrodków.
- W skład EHDN wchodzi również laboratorium genetyczne do badań molekularnych osób z podejrzeniem HD. **Obecnie badania genetyczne dla uczestników Enroll-HD są wstrzymane do wyjaśnienia kwestii finansowania przez CHDI.**

Organizacja EHDN Polska

- Ośrodki badawcze znajdują się w pięciu miastach na terenie Polski:
 - Poznaniu (ośrodek badawczy oraz koordynacyjny),
 - Gdańsku (ośrodek badawczy),
 - Warszawie (dwa ośrodki badawcze, jeden koordynacyjny),
 - Katowicach (ośrodek badawczy),
 - Krakowie (ośrodek badawczy).

Organizacja EHDN Polska

- Aby zapewnić równomierny rozdział pacjentów została utrzymana rejonizacja.
- Rejonizacja obejmuje poszczególne województwa przynależne do ośrodków badawczych.
- We wszystkich Ośrodkach Badawczych w Polsce jest obecnie prowadzone badanie:



Poznań

- Rejon:

- woj. wielkopolskie

- woj. lubuskie

- woj. zachodniopomorskie

- woj. dolnośląskie

Ośrodek Poznań

- *Uniwersyteckie Centrum Medyczne*
 - *ul. Przybyszewskiego 39*
 - *60-356 Poznań*
 - *tel. / fax 61 854 72 99*
- Główny Badacz: Daniel Zielonka tel.: 504 609 951
- Koordynator (osoba kontaktowa w ośrodku): Alicja Puch tel.: 668 808 131

Gdańsk

- Rejon:

- woj. pomorskie

- woj. kujawsko-pomorskie

- woj. warmińsko-mazurskie

Ośrodek Gdańsk

- *COPERNICUS Podmiot Leczniczy Sp. z o.o. Szpital św. Wojciecha*
 - *Al. Jana Pawła II 50, 80-462 Gdańsk-Zaspa*
 - *tel. (58) 768-40-00, faks (58) 556-38-70*
- Główny Badacz: Witold Soltan
- Koordynator: Agnieszka Konkel tel.: 609 952 555
- UWAGA: Telefon kontaktowy dla pacjentów:
Telefon: 58 7684560 w razie kłopotów z
dodzwonieniem się dzwonić do koordynatora.

Warszawa

- Rejon:
 - woj. Mazowieckie
 - woj. Podlaskie
 - woj. Lubelskie

Ośrodek IPiN Warszawa

- *Instytut Psychiatrii i Neurologii, Zakład Genetyki i I Klinika Neurologii*
 - *ul. Sobieskiego, 9,*
 - *02-957 Warszawa.*
 - *Telefon: +48 22 4582800*
 - *Fax: +48 22 6425375*
- Główny Badacz: Grzegorz Witkowski
- Koordynator: Iwona Stępniaik
- UWAGA: telefon kontaktowy dla pacjentów: 22 45 82 574 (Poradnia) lub 22 45 82 610 (Sekretariat Zakładu Genetyki)

Ośrodek WUM Warszawa

- *Warszawski Uniwersytet Medyczny*
- *Katedra i Klinika Neurologii,*
 - *ul. Banacha, 1A,*
 - *02-097 Warszawa.*
 - *Telefon: +48 22 5992858*
 - *Fax: +48 22 5991857*
- Główny Badacz: Piotr Janik
- Koordynator: Natalia Szejko tel.: 509 905 931
- UWAGA: telefon kontaktowy dla pacjentów tel.: 22 599 2858; tel.: 22 599 2773;

Kraków

- Rejon:
 - Woj. małopolskie
 - Woj. podkarpackie
 - Woj. świętokrzyskie

Ośrodek Kraków

- *Krakowska Akademia Neurologii*
 - *ul. Ariańska, 7/3,*
 - *31-505 Kraków.*
 - *Telefon: +48 12 4269280*
 - *Fax: +48 124225977*
- Główny Badacz: Monika Rudzińska
- Koordynator: Marta Gołosz tel.: 12 426 92 80;
509 740 887; 663 506 016

Katowice

- Rejon:
 - Woj. Śląskie
 - Woj. Opolskie
 - Woj. Łódzkie

Ośrodek Katowice

- *Specjalistyczna Praktyka Lekarska Prof. Grzegorz Opala*
 - *ul. Fitelberga 34*
 - *40-588 Katowice*
 - *Tel. 609-808258, 785-122777*
 - *Fax +48 32-2292222*
- *email: opala.praktyka@gmail.com*
- *Główny Badacz: Monika Rudzińska*
- *Koordynator: Magdalena Łyniewska tel.: 609 808 258*

Organizacja EHDN Polska

- „Who is who” Administratorzy ośrodków (SSA) oraz główni badacze (PI):
 - Poznań:
 - SSA: prof. Jerzy Marcinkowski, Magdalena Karczewska
 - PI: dr Daniel Zielonka.
 - Gdańsk:
 - SSA: prof. dr hab. Jarosław Sławek,
 - PI: lek. Witold Sołtan.

Organizacja EHNDN Polska

– Warszawa – IPIŃ:

- SSA: prof. Danuta Ryglewicz,
- PI: dr Grzegorz Witkowski.

– Warszawa – MU:

- SSA: prof. Anna Kamińska,
- PI: dr hab. Piotr Janik.

– Katowice:

- SSA: prof. Andrzej Szczudlik, dr hab. Monika Rudzińska,
- PI: dr hab. Monika Rudzińska,

– Kraków:

- SSA: prof. Andrzej Szczudlik, dr hab. Monika Rudzińska,
- PI: dr Monika Rudzińska.

Organizacja EHDN Polska

- Mentorem EHDN w Polsce jest prof. dr hab. Jarosław Sławek,
 - Koordynatorem EHDN Polska dr Daniel Zielonka.
 - Telefon +48 504609951
 - e-mail1: daniel.zielonka@wp.pl
 - e-mail2: daniel.zielonka@gmail.com
 - e-mail3: zielonka@amp.edu.pl
- oraz dr Grzegorz Witkowski

NOWA STRONA INTERNETOWA BADANIA
Enroll-HD: <http://enroll-hd.org>

UNIwersYTET MEDYCZNY
im. Karola Marcinkowskiego
w POZNANIU
KATEDRA MEDYCYNy SPOŁECZNEJ
ZAKŁAD HIGIENY

EUROPEAN HUNTINGTON'S
DISEASE NETWORK POLAND