



25 de abril de 2023

Estimada comunidad de enfermos de Huntington,

Nos ponemos en contacto con usted para informarle de los resultados de nuestro estudio de fase 3, PROOF-HD. Para aquellos que no estén familiarizados con el estudio, el objetivo era evaluar la eficacia y seguridad del fármaco en investigación pridopidina (una cápsula oral de 45 mg tomada dos veces al día) en pacientes con enfermedad de Huntington (EH) manifiesta en fase inicial.

El estudio no alcanzó su criterio de valoración primario, el cambio respecto al valor basal en comparación con placebo a las 65 semanas, medido por la puntuación de la Escala Unificada de Valoración de la Enfermedad de Huntington-Capacidad Funcional Total (TFC) o el criterio de valoración secundario clave medido por la Escala Unificada Compuesta de Calificación de la Enfermedad de Huntington (cUHDRS).

Sin embargo, hay indicios alentadores basados en nuestra revisión inicial de los datos. Los análisis que excluyeron a los pacientes que tomaban neurolépticos (también conocidos como antipsicóticos) y corea mostraron beneficios clínicos significativos de la pridopidina en comparación con el placebo en las medidas de resultado de progresión de la enfermedad, motoras y cognitivas. Dado que los resultados podrían ser diferentes para los pacientes que toman estos neurolépticos y corea, diseñamos el estudio para analizar estos conjuntos de datos (preespecificados).

La Pridopidina fue bien tolerada, sin acontecimientos adversos graves relacionados con el tratamiento, con un perfil de seguridad similar al placebo y consistente con estudios clínicos previos. Acabamos de empezar a analizar los datos del ensayo, y tenemos previsto poner al día a la comunidad EH después de completar nuestro análisis completo, incluyendo presentaciones en futuras conferencias médicas y de defensa.

Para saber más sobre los resultados del estudio PROOF-HD, lea nuestro comunicado de prensa [aquí](#).

Nuestro compromiso con la comunidad EH continúa y estamos examinando posibles formas de avanzar en el uso de pridopidina en la EH. Estamos trabajando estrechamente con las organizaciones de defensa de los pacientes para compartir estos resultados preliminares de PROOF-HD con usted, incluyendo dos seminarios web previstos para principios de mayo para que la comunidad EH pueda aprender más y hacer preguntas.

Nos gustaría dar las gracias a todos los participantes en el estudio y a sus familias, así como a la comunidad EH en general, por su colaboración en el estudio PROOF-EH. Apreciamos su dedicación y compromiso con el estudio y estamos seguros de que los resultados ayudarán a avanzar en la investigación de la EH.

Atentamente,

Seth Rotberg, Director Senior de Defensa del Paciente y Compromiso

En nombre del equipo de Prilenia

La Pridopidina es un medicamento en investigación que no está aprobado para el tratamiento de la EH



PRE GUN TAS Y RESP UEST AS

¿A quién puedo dirigirme si necesito ayuda o tengo alguna pregunta?

- *Para los participantes en el estudio y sus familiares, les animamos a que se pongan en contacto con su médico del estudio para obtener más información sobre los próximos pasos.*
- *Para los miembros de la comunidad EH en general, por favor, póngase en contacto con su centro local de atención a la EH o con la organización de defensa del paciente.*

¿Qué es la pridopidina?

- *La pridopidina (45 mg dos veces al día) es un agonista de S1R oral, altamente selectivo y potente, en fase de investigación, que ha mostrado un perfil de seguridad y tolerabilidad similar al placebo en los estudios clínicos realizados hasta la fecha. La proteína S1R está altamente expresada en el cerebro y la médula espinal, donde regula varios procesos clave que suelen verse alterados en diversas enfermedades neurodegenerativas. La activación del S1R por la pridopidina puede tener efectos neuroprotectores. Se trata de un medicamento en investigación, y su seguridad y eficacia no han sido determinadas por la FDA o la EMA.*

¿Cuáles fueron los criterios de valoración principales y secundarios del estudio?

- *El criterio de valoración principal del estudio PROOF-HD fue el cambio respecto al valor inicial en la puntuación UHDRS-TFC a las 65 semanas. La TFC mide la capacidad de una persona para mantener la funcionalidad en diferentes dominios como: ocupación, finanzas, tareas domésticas, actividades de la vida diaria y nivel de cuidados.*
- *El criterio de valoración secundario clave se midió mediante la Escala Unificada Compuesta de Calificación de la Enfermedad de Huntington (cUHDRS). Esto incluye un análisis de respondedores (la proporción de participantes sin empeoramiento [cambio ≥ 0 punto]) en TFC, cognición motora y calidad de vida.*

¿Qué significa que no se hayan alcanzado los criterios de valoración principales o secundarios?

- *El criterio de valoración primario de un ensayo clínico es el objetivo final específico de un medicamento en investigación que una empresa espera alcanzar. Los criterios de valoración secundarios clave ayudan a una empresa a analizar otros efectos potenciales de un fármaco en investigación. Por ello, tendremos que realizar más análisis del conjunto de datos completo de PROOF-HD.*

¿Qué son los neurolépticos?

- *Los neurolépticos también se conocen como antipsicóticos. Son diferentes de los antidepresivos.*
- *Según "HDSA's A Physician Guide to the Management of Huntington's Disease (Third Edition)", los neurolépticos se utilizan para la psicosis y a veces para la irritabilidad o para la supresión de la corea.*

¿Cuándo se darán a conocer los resultados completos de PROOF-HD?

La Pridopidina es un medicamento en investigación que no está aprobado para el tratamiento de la EH



- *Prilenia llevará a cabo una evaluación completa de los datos de PROOF-HD y compartirá los resultados en futuras conferencias médicas y de defensa del paciente.*

¿Qué ocurrirá con los participantes inscritos en la extensión abierta?

- *Casi todos los participantes (98%) que cumplían los requisitos eligieron continuar en el estudio OLE en curso de PROOF-HD.*
- *Prilenia tiene la intención de seguir proporcionando a los pacientes acceso a la pridopidina como parte de la actual Extensión de Etiqueta Abierta de PROOF-HD o a través de programas de Acceso Ampliado.*