

Italiano - TRANSCRIPT: USH2A Clinical Trial Webinar, presented by ProQR Therapeutics

00:19:21 [W] Bene.

00:19:23 [W] Ciao a tutti.

00:19:27 [W] Vedete, molte persone stanno arrivando, daremo a tutti un minuto per accedere.

00:19:40 [W] Bene.

00:19:48 [W] Vedo ancora che i numeri salgono.

00:19:51 [W] Oggi abbiamo una grande partecipazione.

00:19:54 [W] Questo è molto eccitante.

00:19:55 [W] Darò altri 30 secondi circa ai partecipanti per accedere e poi esamineremo le funzionalità di accessibilità disponibili oggi prima di passare alla presentazione.

00:20:12 [W] Ok, quindi ciao a tutti.

00:20:16 [W] Sono Krista Vasi e sono il direttore esecutivo della Coalizione per la sindrome di Usher e do il benvenuto a tutti voi oggi per questa presentazione prima di fare più di un benvenuto e di una presentazione. Voglio esaminare le funzionalità di accessibilità

00:20:31 [W] Tutti hanno pieno accesso.

00:20:29 [W] Abbiamo la traduzione in lingua spagnola, quindi puoi abilitarla facendo clic sull'icona del globo nella barra degli strumenti in basso e selezionando lo spagnolo.

00:20:43 [W] E se selezioni lo spagnolo, hai la possibilità di disattivare l'audio originale in inglese.

00:20:48 [W] Darò al nostro interprete spagnolo un minuto per tradurlo e consentire ai partecipanti di attivare l'audio della traduzione in spagnolo.

[spagnolo]

00:21:34 [W] Ok, quindi speriamo che i nostri amici di lingua spagnola stiano saltando sull'audio spagnolo in questo momento.

00:21:40 [W] Sfrutterò questa opportunità per ricordare a me stesso e agli altri relatori di oggi che abbiamo molti tipi diversi di interpreti.

00:21:51 [W] Devo recuperare il ritardo e anche identificarmi ogni volta che parlo o uno qualsiasi degli altri presentatori, è sempre bene identificarsi prima e poi parlare.

00:21:59 [W] Portiamo la nostra attenzione sull'altra grande caratteristica dell'accessibilità oggi, che è Wordly.

00:22:07 [W] Questo è un sistema di traduzione basato sull'intelligenza artificiale che tradurrà questo webinar in oltre 20 lingue e lo accenderà

00:22:19 [W] Puoi fare clic sul collegamento che abbiamo fornito nella casella della chat oppure puoi fare clic sulla freccia giù. Accanto al pulsante live, in alto a sinistra dello schermo e seleziona Visualizza

00:22:34 [W] Sul servizio di live streaming personalizzato che aprirà una scheda del browser. Che ha la parola bugia.

00:22:42 [W] L'app Wordly in cui puoi quindi selezionare la tua lingua e vedere le didascalie nella tua lingua.

00:22:49 [W] Puoi. Anche se ci sono opzioni per alcune lingue per ascoltare la tua lingua.

00:22:56 [W] Ascolta anche La voce. Quindi si spera che tutti possano accedere alla traduzione di Wordly per chiunque lo cerchi.

00:23:04 [W] Per sottotitoli e inglese. Abbiamo abilitato la trascrizione di trance dal vivo in Zoom.

00:23:11 [W] Quindi, seleziona l'icona CC in basso. A destra dello schermo sulla barra dei menu Zoom e attiverai i sottotitoli.

00:23:19 [W] Puoi anche selezionare le impostazioni dei sottotitoli e adattare le dimensioni alle tue esigenze visive.

00:23:26 [W] Vediamo, abbiamo con noi anche oggi i nostri interpreti ASL.

00:23:30 [W] Abbiamo sia Melissa che Dena e adoro che Melissa e Dena si salutino e si identifichino.

00:23:38 [W] Ciao.

00:23:40 [W] Quindi, chiunque utilizzi l'interpretazione ASL oggi, può bloccare Melissa e Dena.

00:23:45 [W] Così sono sempre visibili sul tuo dispositivo personale.

00:23:48 [W] Lo farai cliccando. I tre punti nella parte superiore del loro video e penso di pensare che coprano la diversa accessibilità.

00:24:00 [W] Che cos'era questo?

00:24:03 [W] Bene sono i sottotitoli, il lavoro e gli interpreti sono visibili.

00:24:12 [W] Buon spagnolo.

00:24:15 [W] Impara la lingua spagnola.

00:24:16 [W] Gli interpreti sono tutti a posto.

00:24:17 [W] Sì.

00:24:19 [W] Vedo molti sì.

00:24:22 [W] Meraviglioso e fantastico.

00:24:25 [W] Prenderò questo momento per presentare rapidamente Brian.

00:24:28 [W] È il nostro supporto tecnico.

00:24:30 [W] Se hai domande o problemi durante il webinar, puoi chattare direttamente con Brian e lui può aiutarti.

00:24:37 [W] Ok, così via allo spettacolo, bentornato. Tutti prima di presentare i nostri ospiti da ProQR Therapeutics, voglio dire qualche parola per significare

00:24:52 [W] l'importanza di questo momento.

00:24:54 [W] La Coalizione della sindrome di Usher si è formata più di 10 anni fa con questo preciso momento in mente.

00:25:02 [W] La nostra ragione di esistenza è colmare il divario tra i ricercatori e coloro che vivono con la sindrome di Usher.

00:25:10 [W] Nel 2008. The Coalition è stata creata con la sincera convinzione che potessimo trovare supporto e connettere tutti con la sindrome di Usher.

00:25:18 [W] E poi assicurati che gli studi clinici per la sindrome di Usher abbiano successo.

00:25:23 [W] Persone che vivono con questa condizione.

00:25:24 [W] in parole povere la ricerca non può avvenire. Senza di te i trattamenti non possono essere sviluppati senza di te. Gli esperti che convivono con la sindrome di Usher.

00:25:35 [W] Ecco perché sono incredibilmente entusiasta di questa presentazione oggi.

00:25:38 [W] Per la prima volta.

00:25:40 [W] C'è una sperimentazione clinica nella fase finale per un trattamento per la sindrome di Usher.

00:25:44 [W] Si tratta di un traguardo degno di essere riconosciuto e celebrato.

00:25:48 [W] E mentre questo particolare studio clinico è per una popolazione specifica all'interno della nostra più ampia Comunità.

00:25:54 [W] So che questo è solo l'inizio di una nuova era nella ricerca sulla sindrome di Usher, in cui la Coalizione può eventualmente riunire tutti per tutti i tipi di Usher.

00:26:05 [W] Con la ricerca che ne gioverà.

00:26:07 [W] Quindi sono così felice di presentare il nostro oratore oggi.

00:26:10 [W] Legno di Doreen, dal ProQR. Di recente è entrata a far parte del team ed è il capo progetto per le sperimentazioni sulla sindrome di Usher di cui sentirete parlare oggi.

00:26:19 [W] Allora, Doreen, te lo passo.

00:26:24 [W] Grazie.

00:26:24 [W] Grazie.

00:26:28 [W] Chris passo. Ciao a tutti.

00:26:30 [W] Buon pomeriggio.

00:26:31 [W] Buona serata.

00:26:32 [W] Mi chiamo Doreen Wood.

00:26:38 [W] Mentre continuiamo questi giorni covid.

00:26:38 [W] Lo voglio.

00:26:39 [W] Spero che stiate tutti bene.

00:26:41 [W] Questa è la mia prima occasione per incontrarti.

00:26:44 [W] Sono nuovo di ProQR, sapevo di oftalmologia.

00:26:49 [W] In questa discussione oggi.

00:26:51 [W] Volevo ringraziare la Usher Coalition per la loro meravigliosa collaborazione in corso con Proq.

00:26:58 [W] Consideriamo fondamentale avere Partner così forti che ci tengono in conto, sostenendo il nostro sviluppo clinico e assicurandoci la tua voce.

00:27:09 [W] La comunità è ascoltata forte e chiara in ProQR oggi. Ti parlerò di ciò che noi come piccoli.

00:27:20 [W] Biotech con sede nella città olandese di Leiden ea Cambridge, nel Massachusetts. Cosa stiamo facendo nella scienza dell'RNA nella sindrome di Usher in particolare e in altre condizioni genetiche dell'occhio.

00:27:35 [W] Giusto per presentarmi.

00:27:33 [W] Il mio ruolo è guidare il progetto QR-421a per le nostre azioni.

00:27:40 [W] La mia esperienza consiste nel guidare lo sviluppo di nuovi farmaci, per portarli al paziente. Poco prima di condividere le diapositive. Voglio dire.

00:27:52 [W] Spero che il mio accento scozzese non sia troppo forte.

00:27:55 [W] Non esitate a dirmi di rallentare o di parlare più chiaramente.

00:28:02 [W] Quindi parlerò per circa 30 minuti, il che dovrebbe lasciare molto tempo per le tue domande.

00:28:23 [W] E ho appena controllato, puoi vedere una diapositiva.

00:28:29 [W] Sì grazie.

00:28:36 [W] Queste sono dichiarazioni previsionali.

00:28:41 [W] Chi siamo noi?

00:28:42 [W] ProQR Terapeutica?

00:28:44 [W] Terapie con RNA per individui che hanno una condizione genetica dell'occhio con la missione di fermare la perdita della vista, o anche per invertire alcuni dei sintomi nel campo delle terapie con RNA, ProQR.

00:28:56 [W] L'avanguardia nella fornitura di terapie mirate per le persone con patologie oculari genetiche, siano esse la retina o la parte posteriore dell'occhio, come la sindrome di Usher, o Fuchs ed eterea

00:29:11 [W] Distrofia, che è la cornea o la parte anteriore dell'occhio.

00:29:22 [W] Ironia, terapie, uso antisense antisense tutto fa. Nucleotidi di più su cosa sia.

00:29:30 [W] dopo. E questi sono specificamente progettati per correggere la causa alla base della malattia nell'RNA di una persona per fermare la progressione della malattia o addirittura invertire i sintomi.

00:29:44 [W] Quindi RNA, stiamo parlando di acido ribonucleico ed è un componente essenziale.

00:29:52 [W] Di tutte le cellule viventi.

00:29:53 [W] Sono sicuro che molti di voi avranno sentito parlare di RNA o mRNA a causa dei vaccini Pfizer e Moderna.

00:30:04 [W] Ero molto entusiasta di ricevere il vaccino per vedere la scienza lanciata su un grande pubblico.

00:30:12 [W] Quindi è molto diverso da come stiamo applicando la scienza.

00:30:17 [W] È ancora bello.

00:30:21 [W] L'ironia è usata per la traduzione.

00:30:24 [W] Questo è il processo in cui le proteine vengono create nella cellula.

00:30:30 [W] L'RNA stesso è prodotto dal DNA.

00:30:34 [W] Sapere cos'è il DNA grazie a Jurassic Park.

00:30:39 [W] Sappiamo cosa succede quando mescoli un DNA di Toads con un DNA di dinosauro e non è carino e la terapia ironica è progettata per correggere la mutazione nel

00:30:54 [W] qualcuno con una malattia genetica correggendo l'errore, l'RNA può quindi essere utilizzato per creare la proteina di cui la cellula ha bisogno rimuovendo la causa sottostante

00:31:08 [W] Condizione.

00:31:11 [W] Basta avanzare qui.

00:31:12 [W] Quindi questa diapositiva racconta la storia della nostra azienda ProQR è stata fondata nel 2012 dal tuo attuale CEO.

00:31:23 [W] Daniel de Boer qualche anno prima. Daniel e la sua famiglia hanno dovuto affrontare la diagnosi di fibrosi cistica nel figlio appena nato.

00:31:34 [W] Questo è raro. Malattia genetica incurabile Daniel.

00:31:40 [W] Aiuto da esperti nel campo dello sviluppo di farmaci e formato ProQR per aiutare persone come suo figlio.

00:31:49 [W] Quando sono arrivati trattamenti vitali per la fibrosi cistica, Daniel ha esaminato altre aree di sgombero.

00:31:57 [W] Elevato bisogno insoddisfatto.

00:32:02 [W] A questo punto di riflessione per l'azienda. Avevamo iniziato il lavoro clinico e il tipo di amaurosi congenita di Leber, 10 o LCA10 e quindi il cambiamento naturale era lì.

00:32:17 [W] Il tempo è cambiato.

00:32:19 [W] il suo focus sulle malattie genetiche degli occhi.

00:32:25 [W] Dal 2017 abbiamo visto ProQR concentrarsi e portare avanti la ricerca clinica.

00:32:32 [W] Questa è la ricerca che coinvolge.

00:32:36 [W] Invitare le persone che vivono con LCA10 con tipo di sindrome di Usher a una retinite autosomica dominante.

00:32:45 [W] Pigmentosa e, più recentemente, distrofia corneale endoteliale di Fuchs.

00:32:54 [W] A gennaio dello scorso anno, avevamo completamente iscritto il nostro studio di fase due, tre cardine in LCA10 che ci porta come azienda in una nuova era in cui

00:33:09 [W] Per portare a società del calibro delle agenzie di regolamentazione, alla FDA, a Ema e in Europa per emettere carbone, nel Regno Unito per registrare una terapia in

00:33:20 [W] Tu 22.

00:33:18 [W] Quindi, come ha detto Krista, è un momento molto emozionante per la comunità e per noi come azienda.

00:33:35 [W] Si stima che cinque milioni di persone nel mondo vivano attualmente con patologie oculari genetiche, ma probabilmente è ancora di più a causa della mancanza di consapevolezza sui test genetici,

00:33:50 [W] E di dominio pubblico per la stragrande maggioranza di queste persone.

00:33:56 [W] Non è disponibile alcun trattamento per la perdita della vista e l'eventuale cecità che può verificarsi.

00:34:06 [W] Riteniamo che il modo migliore per adempiere a questa missione sia sviluppare terapie a RNA per le malattie genetiche degli occhi.

00:34:14 [W] Abbiamo costruito una piattaforma per sviluppare queste terapie altamente mirate per affrontare la causa alla base della malattia e migliorare la vista.

00:34:28 [W] E con più di 300 geni identificati che causano malattie oculari genetiche.

00:34:35 [W] C'è un'immensa opportunità per sviluppare terapie per le persone bisognose, ad esempio LCA10 prende la malattia. Ciò provoca un errore una mutazione nel

00:34:50 [W] Qualsiasi a causa della mutazione e della proteina essenziale nell'I non può funzionare o manca, e questo porta al deterioramento della luce, rilevando le cellule

00:35:04 [W] Come per rilevare le cellule nella retina.

00:35:14 [W] quindi, nel campo dell'RNA Therapeutics, ProQR è in prima linea nella fornitura di terapie mirate per le persone con malattie oculari genetiche, le nostre terapie con RNA, l'uso,

00:35:30 [W] Indosso terapie a RNA, uso nucleotidi antisenso che sono specificamente progettati per correggere la causa alla base della malattia nelle condizioni di una persona e per fermare la malattia

00:35:46 [W] O anche per invertire i sintomi.

00:35:49 [W] Allora cosa sono questi, tutti quei nucleotidi antisenso tutti fa, sono costituiti da brevi tratti di RNA sintetico, che vengono modificati chimicamente per aumentare

00:36:05 [W] E il loro assorbimento nelle cellule.

00:36:09 [W] Questa tecnica è un approccio consolidato per il trattamento delle malattie genetiche e sono approvate.

00:36:17 [W] Terapie a RNA utilizzate oggi per curare i pazienti.

00:36:23 [W] Quindi, come forniamo il trattamento?

00:36:28 [W] Perché un farmaco funzioni. In primo luogo, deve entrare nel corpo.

00:36:34 [W] Le terapie con RNA funzionano meglio. Se vengono somministrati direttamente nell'organo colpito, in caso di malattie della retina, sono possibili terapie iniettabili nel vitreo

00:36:49 [W] Questa è la cavità che viene riempita con il fluido gelatinoso con questo metodo di erogazione.

00:36:55 [W] È noto come vetriolo introverso, iniezione o IV T ed è una delle procedure più eseguite per le malattie degli occhi.

00:37:06 [W] La procedura viene eseguita da medici per condizioni comuni come la degenerazione maculare legata all'età per la retinopatia diabetica e l'occlusione della vena retinica.

00:37:23 [W] Quindi IV T è diverso dall'iniezione sottoretinica. Il metodo utilizzato per la terapia genica, che richiede un delicato intervento chirurgico alla retina.

00:37:41 [W] Qual è la procedura per il colloquio?

00:37:44 [W] Iniezione di pista?

00:37:45 [W] l'intera procedura dura dai 10 ai 15 minuti ed è stata appena eseguita nello studio del medico?

00:37:52 [W] Mentre il paziente è seduto su una sedia?

00:37:57 [W] L'occhio è insensibile quindi non fa male.

00:38:01 [W] Una volta che l'occhio è preparato.

00:38:03 [W] All'individuo verrà chiesto di guardare in una direzione particolare.

00:38:07 [W] Mentre il medicinale viene iniettato nella parte bianca dell'occhio con un ago molto sottile.

00:38:19 [W] Quindi, come possiamo testare le nostre molecole di RNA? La nostra innovazione? Il team è sempre alla ricerca di nuove tecniche.

00:38:29 [W] Usiamo piccole biopsie cutanee di individui per creare modelli di coppe ottiche viventi per testare i nostri farmaci e vedere se abbiamo il coinvolgimento del target.

00:38:41 [W] anche prima di iniettare nell'occhio di qualcuno.

00:38:47 [W] Sull'ironia. E qual è la differenza rispetto al DNA per coloro che nel webinar potrebbero non essere in grado di vedere la grafica?

00:38:57 [W] Lascia che te lo descriva in basso.

00:39:01 [W] Abbiamo una doppia elica del DNA, come io. Immagina. La maggior parte di noi ha familiarità con questo al di sopra del DNA.

00:39:09 [W] Abbiamo un singolo filamento di RNA. Come menzionato in precedenza. Questo RNA è usato per la traduzione.

00:39:17 [W] Nel processo mediante il quale le proteine vengono create in una cellula. L'RNA stesso è prodotto dal DNA in un processo chiamato trascrizione.

00:39:35 [W] Terapia genetica.

00:39:36 [W] Generalmente apporta alterazioni permanenti alla terapia genica del DNA, agisce direttamente sul gene che causa la malattia e richiede vettori

00:39:51 [W] Le cellule bersaglio. L'editing genetico cambia direttamente.

00:39:53 [W] Il DNA.

00:39:58 [W] Al contrario, le terapie con RNA funzionano a livello di RNA.

00:40:05 [W] Qualsiasi ha un effetto transitorio e non altera il genoma.

00:40:12 [W] Quindi, antisense tutto fa, i nucleotidi non richiedono vettori per accedere alle cellule bersaglio.

00:40:19 [W] Ne arriveremo altri due. Questo più tardi.

00:40:29 [W] Quindi, grazie per essere stato paziente con me per arrivare alla parte del discorso che penso interesserà la maggior parte di voi.

00:40:37 [W] La nostra continua ricerca per noi è una retinite pigmentosa mediata e la sindrome di Usher.

00:40:47 [W] Qr-421a.

00:40:50 [W] Questo è il nome del trattamento.

00:40:52 [W] È un'indagine.

00:40:56 [W] Terapia dell'RNA progettata per saltare l'esone 13 e l'RNA con l'obiettivo di fermare la perdita della vista.

00:41:05 [W] È molto specifico per Exon 13.

00:41:11 [W] Quindi questa è davvero scienza genetica.

00:41:13 [W] Voglio ringraziare i nostri partner della fondazione che combattono la cecità, che hanno davvero sostenuto finanziariamente il nostro programma.

00:41:25 [W] quindi un po' sulla sindrome dell'assicurare e sui progressi che stiamo facendo

00:41:32 [W] Abbiamo parlato di scienza. E ora, voglio parlare delle ultime novità di marzo. L'anno scorso.

00:41:41 [W] Siamo stati lieti di annunciare i risultati positivi del nostro programma di studio clinico sulla sindrome di Usher e la retinite, chiamato Stellar, che ha raggiunto tutti gli obiettivi dichiarati.

00:41:56 [W] Questo segna una pietra miliare cruciale nella nostra ricerca in corso sono sperimentali, la terapia dell'RNA.

00:42:07 [W] Qr-421a un nome accattivante.

00:42:09 [W] So che sembra fermare la perdita della vista nelle persone con una mutazione in una parte specifica dell'arco in un gene, la parte chiamata Exon 13.

00:42:25 [W] Qr-421a, funziona legandosi alla sezione mutata ed è ed esclude l'esone 13 dall'RNA.

00:42:36 [W] ping.

00:42:38 [W] Le cellule della retina possono quindi produrre una corsa leggermente più breve, ma funzionale, verso una proteina. La sperimentazione clinica Stellar era per vedere se questo poteva fermare o invertire la visione

00:42:53 [W] Sindrome certo.

00:43:02 [W] Quindi, questa è un'immagine del design della sperimentazione clinica. Le diverse fasi dello sviluppo clinico riguardano la raccolta di dati e approfondimenti.

00:43:17 [W] Vale la pena notare che questo disegno consisteva in tre diverse dosi testate in 20 partecipanti a studi clinici con un periodo di follow-up di due anni.

00:43:34 [W] I partecipanti sono stati randomizzati a ricevere QR-421a o Sean in un occhio e l'altro occhio è stato lasciato.

00:43:48 [W] non trattato come controllo.

00:43:52 [W] Per quelli Sharm. Randomizza i partecipanti e ho subito una vera iniezione intraversa fittizia.

00:44:02 [W] Quindi non c'era penetrazione dell'occhio.

00:44:06 [W] e la Falsa. Il braccio viene utilizzato solo a scopo di mascheramento.

00:44:13 [W] Quindi cosa intendo per mascherare?

00:44:16 [W] È un modo per nascondersi.

00:44:19 [W] Quale trattamento ha ricevuto il paziente per ridurre i pregiudizi.

00:44:28 [W] Dati i diversi tassi di profitto della progressione della malattia tra i partecipanti e il piccolo numero di partecipanti esperti. Credi che il miglior controllo sia il non trattato,

00:44:43 [W] Sono nella stessa prova, partecipante.

00:44:47 [W] Quindi l'obiettivo di questo studio a dose singola era identificare ai fini della registrazione. Cosa fanno quelli che cosa intervallo di dosaggio in base all'esordio?

00:44:58 [W] La durata e la diminuzione dell'effetto e la popolazione target per la fase successiva dello sviluppo clinico?

00:45:11 [W] E la notizia positiva è che lo studio ha raggiunto tutti gli obiettivi dichiarati.

00:45:19 [W] Abbiamo anche trovato due popolazioni presto. Progressione moderata della malattia e progressione avanzata della malattia a. Questo è importante e ne parlerò più avanti.

00:45:37 [W] Quindi ecco il riassunto di ciò che abbiamo visto in questo processo Stellar. È stato uno studio clinico di fase 1, due per verificare se è il

00:45:53 [W] Alla sperimentazione clinica per testare, se la molecola QR-421a è sicura e l'effetto sulla vista.

00:46:04 [W] Il medicinale è risultato essere sicuro e ben tollerato senza gravità.

00:46:10 [W] Eventi avversi segnalati.

00:46:14 [W] La prova clinica del concetto è stata stabilita sulla migliore acuità visiva corretta.

00:46:24 [W] questo è bcva o potresti saperlo. Come la carta degli occhi anche sulla perimetria statica, che serve per misurare, retinolo, sensibilità.

00:46:36 [W] E questi sono stati supportati da importanti punti finali secondari come

00:46:43 [W] OCT Imaging, che esamina retina, spessore e microperimetria.

00:46:53 [W] Inoltre, abbiamo raccolto le informazioni chiave per portare avanti il programma, inclusa la registrazione appropriata, e aprire le porte.

00:47:05 [W] L'intervallo di somministrazione da utilizzare e la popolazione di studio ottimale sono stati identificati per il prossimo studio.

00:47:15 [W] Quindi sono felice di dire che poi ci siamo posti la sfida di iniziare.

00:47:22 [W] Studi fondamentali entro la fine dello scorso anno.

00:47:28 [W] Uno era nella popolazione di pazienti da precoci a moderati, uno nel gruppo di malattie avanzate.

00:47:39 [W] Quindi abbiamo dovuto affrontare una sfida difficile da iniziare entro la fine dell'anno e sono molto lieto di dire che i primi pazienti sono stati somministrati a dicembre.

00:47:54 [W] Abbiamo riscontrato un beneficio in tutti i pazienti trattati nello studio Stellar.

00:48:00 [W] che includeva partecipanti allo studio con perdita della vista sia avanzata che moderata.

00:48:09 [W] E questa definizione tra i due gruppi sarà importante per le prossime fasi della ricerca.

00:48:18 [W] Abbiamo un blog completo e un briefing della comunità sul nostro sito web.

00:48:23 [W] Se le persone sono interessate a leggere di più.

00:48:31 [W] Nessuno, visto Krista ci ha detto che molte persone volevano conoscere i rischi e la sicurezza.

00:48:39 [W] Questa è una parte fondamentale della ricerca clinica.

00:48:42 [W] Ci ha detto che molte persone volevano conoscere i rischi e la sicurezza.

00:48:48 [W] Questa è una parte fondamentale della ricerca clinica.

00:48:52 [W] Vale la pena notare che c'è sempre un rischio nel condurre questo tipo di studi e spero che esaminando gli aspetti di sicurezza possiamo mostrarti come realizziamo questi studi clinici

00:49:09 [W] Rendiamo questi studi clinici il più sicuri possibile.

00:49:12 [W] Prendiamo molto sul serio la sicurezza e continuiamo a lavorare con le autorità di regolamentazione e i comitati etici per assicurarci che i partecipanti siano seguiti durante tutto lo studio.

00:50:14 [W] Chiedo scusa.

00:50:15 [W] Penso che abbiamo perso la connessione per un momento.

00:50:17 [W] Sì.

00:50:20 [W] Va bene, un momento.

00:50:34 [W] La sicurezza è stata una parte importante di questa sperimentazione clinica, l'obiettivo principale dello studio era incentrato sulla sicurezza.

00:50:46 [W] Qr-421a è stato osservato per essere sicuro e ben tollerato, con oltre 3700 partecipanti, giorni di follow-up.

00:50:56 [W] Ciò equivale ad anni di follow-up in questo studio.

00:51:02 [W] Importante, no, serio. Sono stati osservati eventi avversi e non si sono verificati casi di infiammazione.

00:51:11 [W] Tuttavia, un paziente lavora sodo per il peggioramento della cataratta preesistente. In entrambi gli occhi. Entrambi sono considerati non correlati al trattamento, è noto che la cataratta si verifica come parte di.

00:51:27 [W] Di cataratta preesistente in entrambi gli occhi.

00:51:30 [W] Entrambi sono considerati non correlati al trattamento, è noto che la cataratta si verifica come parte del background della sindrome di Usher e si verifica in oltre il trenta per cento dei pazienti.

00:51:47 [W] Nello studio non sono state riportate nuove cataratte.

00:51:54 [W] Cistoide maculare, edema o c, ed e sono frequentemente associati a retinite.

Pigmentosa, e fa parte della storia naturale della malattia in oltre il 30 per cento

00:52:09 [W] A della malattia e oltre il 30% dei pazienti.

00:52:14 [W] Di solito è gestito adeguatamente con colliri topici.

00:52:21 [W] No, durante lo studio si sono verificati nuovi casi di ECM.

00:52:26 [W] Tuttavia, un paziente che aveva già ECM, è stato arruolato nel gruppo, ricevendo una dose di 200 microgrammi, l'ECM è progredito durante lo studio, ma è stato

00:52:41 [W] Sorridi ai non gestiti con la terapia standard.

00:52:46 [W] Quindi siamo lieti di vedere che QR-421a mostra un profilo così sicuro e ben tollerato in questo studio.

00:53:21 [W] Ma cosa significa il successo della sperimentazione clinica?

00:53:26 [W] Oltre al profilo di sicurezza.

00:53:27 [W] Abbiamo anche esaminato la migliore acuità visiva corretta e ciò che abbiamo visto è stata la stabilizzazione in tutti gli occhi trattati.

00:53:39 [W] Ora. Questo è degno di nota.

00:53:42 [W] Erano solo 11 iniezioni.

00:53:47 [W] La stabilizzazione della vista è stata osservata nel trattamento. Io contro declino nel non trattato.

00:53:55 [W] Io in tutti i pazienti.

00:53:57 [W] Quindi abbiamo visto un deterioramento dell'io non trattato in linea con la storia naturale.

00:54:05 [W] Ciascuno c'era un vantaggio di sei lettere sulla tabella degli occhi.

00:54:10 [W] Ed è stata la settimana 72. Era un beneficio di otto lettere che mostrava un effetto prolungato coerente con la lunga emivita di QR-421a.

00:54:28 [W] Tutti i partecipanti trattati presentavano un'ampia gamma di perdita della vista o acuità visiva.

00:54:36 [W] Pertanto, vedere una stabilizzazione come questa è stato bello da vedere, ma abbiamo imparato qualcosa in più.

00:54:46 [W] Che il cambiamento nella risposta bcva, A bcva è determinato dalla popolazione della malattia avanzata.

00:54:57 [W] Ora, perché è importante?

00:54:58 [W] Stiamo iniziando a imparare cosa potremmo fare nella nostra prossima fase di sviluppo clinico.

00:55:06 [W] Ora, abbiamo visto la stabilizzazione nell'occhio trattato dopo una singola dose.

00:55:14 [W] Concentrandosi sulla popolazione avanzata, il beneficio per gli occhi. Il grafico era un cambiamento medio di 9,3 lettere.

00:55:25 [W] Intendo una differenza di 13 lettere alla settimana 72, l'endpoint della settimana 72 è quindi il momento in cui esamineremo l'endpoint primario nella nostra fase 3.

00:55:40 [W] Mi nella popolazione avanzata, uno studio chiamato Sirius.

00:55:48 [W] Quindi abbiamo identificato gli endpoint da proporre agli organismi di regolamentazione, che potrebbero prendere in considerazione per un nuovo medicinale, per l'approvazione del prodotto.

00:56:02 [W] Questi sono bcva per la popolazione avanzata e per la prima popolazione moderata.

00:56:11 [W] Stiamo guardando invece alla perimetria statica.

00:56:17 [W] Abbiamo visto i partecipanti rispondere sugli endpoint o sulle misure correlate al loro stadio di malattia di base.

00:56:24 [W] E abbiamo anche visto che i diversi punti finali si muovono in concordanza tra loro.

00:56:34 [W] Quindi, in questa prova Stellar, abbiamo raccolto tutte le informazioni.

00:56:37 [W] Dobbiamo passare alla fase cruciale, avvicinandoci alla registrazione di questo farmaco per i pazienti.

00:56:54 [W] Quindi, in questa diapositiva, abbiamo mostrato il progetto di studio per Sirius.

00:56:58 [W] Questo è nei pazienti avanzati.

00:57:01 [W] e se emesso sottoposto a protocolli per studi di Fase 2, 3,

00:57:10 [W] la FDA ha concordato con il nostro intervallo di somministrazione semestrale proposto e lo ha confermato, dato il profilo di sicurezza. Non dobbiamo più fare altre dosi.

00:57:26 [W] Quindi, questo primo studio chiamato Sirius si concentrerà sulla popolazione avanzata e utilizzerà bcva come endpoint primario.

00:57:37 [W] La seconda prova che mostrerò tra un minuto è simile, ma sarà nella popolazione precoce o moderata e utilizzerà la perimetria statica come

00:57:53 [W] E usa la perimetria statica come endpoint primario.

00:57:59 [W] Queste due popolazioni avevano caratteristiche diverse.

00:58:04 [W] Così abbiamo deciso di strutturarlo. Come due studi paralleli che ci daranno due tiri in porta, per tesseramento.

00:58:15 [W] Quindi lo studio serio utilizza il gold standard di bcva poiché sappiamo che solo le persone con malattia avanzata possono rispondere a questo punto finale.

00:58:30 [W] Includerà solo i pazienti che mostrano una certa perdita di acuità visiva al basale.

00:58:40 [W] I pazienti in questo studio avranno un'acuità visiva di 20/40 o peggiore, il che significa che possono leggere tutto, ma le linee più piccole sui partecipanti allo studio clinico della mappa oculare

00:58:56 [W] Le armi riceveranno una delle due diverse dosi di QR-421a. Ogni sei mesi, l'endpoint primario qui, bcva e data la dimensione dell'effetto osservata in

00:59:10 [W] E prevediamo di valutare l'end point dopo 18 mesi di follow-up.

00:59:16 [W] L'obiettivo sarà stabilizzare il bcva negli occhi trattati con QR-421a. Mentre ci si potrebbe aspettare che il braccio di controllo si deteriori e si allinei con il

00:59:31 [W] La malattia.

00:59:34 [W] Poiché bcva è il gold standard in oftalmologia, lo sviluppo di farmaci. Una lettura positiva del rischio beneficio su bcva sosterebbe, QR-421a

00:59:49 [W] Per i pazienti con noi per una mutazione Exon 13.

00:59:58 [W] Quindi, in parallelo, sembrerà molto simile. Ma questo è lo studio di Celeste sui pazienti da precoci a moderati.

01:00:08 [W] E qui, l'endpoint primario è la perimetria statica, misurata al 12° mese, venti punti.

01:00:18 [W] Uno degli endpoint secondari chiave sarà un corso di mobilità, e forse anche OCT.

01:00:27 [W] Questa è la tomografia a coerenza ottica che osserva lo spessore della retina.

01:00:35 [W] L'obiettivo qui sarà quello di vedere un miglioramento della perimetria statica in linea con i dati sulla soglia di approvazione normativa dello studio Stellar.

01:00:47 [W] Quindi, per entrambi gli studi, stiamo pianificando la lettura primaria dopo la somministrazione ripetuta, ma potremmo considerare di modificare i tempi o di aggiungere un'analisi intermedia.

01:01:01 [W] Una volta che abbiamo una linea, questi piani.

01:01:03 [W] Con i regolatori.

01:01:08 [W] Quindi ora so qualcosa di eccitante.

01:01:13 [W] A un nome per la nostra molecola.

01:01:16 [W] È un piacere informarti.

01:01:18 [W] È un po' un'esclusiva.

01:01:20 [W] Questa è una notizia recente che l'Organizzazione Mondiale della Sanità ha approvato ultevursen.

01:01:30 [W] Questo è tutto per verson come nome per questa molecola. Quello che succede è

01:01:43 [W] se forniamo suggerimenti per questo nome proprietario internazionale prioritario non proprietario e che danno la loro approvazione.

01:01:58 [W] Sono davvero entusiasta di farti conoscere questo traguardo.

01:01:59 [W] Ci sta avvicinando di un passo a questo che diventa un prodotto reale.

01:02:05 [W] Quindi, in chiusura, vorrei dire un enorme.

01:02:09 [W] grazie all'autore assicuro la coalizione a Krista e Nancy per aver invitato ProQR a venire e anche a tutti voi per aver ascoltato e aver intrapreso questo viaggio con noi nella scienza genomica.

01:02:25 [W] Sono felice di provare a rispondere a tutte le domande scottanti che potresti avere.

01:02:28 [W] Grazie.

01:02:37 [W] Grazie mille storia.

01:02:39 [W] Questa è Krista Vasi che parla.

01:02:41 [W] E sì, abbiamo molte domande in arrivo e so che hai anche il tuo, il tuo collega Andrew Bolan di ProQR con te.

01:02:53 [W] Quindi, abbiamo un sacco di esperienza qui per sentire queste domande.

01:02:58 [W] Andy, fai un piccolo saluto.

01:03:00 [W] Eccolo. Va bene, quindi

01:03:05 [W] Vediamo.

01:03:06 [W] So che Andy stavi guardando anche le domande mentre arrivavano e potrebbe essere la cosa migliore. Se prendi il tuo ordine, il tuo ordine preferito. Sì, assolutamente.

01:03:18 [W] Ciao, sono Heidi, che parla di bowling qui.

01:03:20 [W] È bello essere con te oggi.

01:03:22 [W] Penso che io e Doreen possiamo risolvere queste domande.

01:03:26 [W] Quindi potremmo semplicemente fare una rapida sessione di domande e risposte, mentre esaminiamo molte delle domande.

01:03:30 [W] Speriamo di aver risposto nel, nella presentazione, ma possiamo.

01:03:35 [W] Attraverso di loro passo dopo passo. Quindi il primo che abbiamo Doreen è che ho Usher 2A.

01:03:41 [W] Il mio oculista non farà il test genetico per confermare. Quali altre opzioni ho vivendo nella parte occidentale, nella Carolina del Nord.

01:03:48 [W] Bene, prenderò quello.

01:03:50 [W] Mike, adorabile.

01:03:53 [W] Grazie mille storia.

01:03:54 [W] Questa è Krista. Vazhi, parlando.

01:03:56 [W] E sì, abbiamo molte domande in arrivo e so che hai anche il tuo, il tuo collega Andrew Bolan di ProQR con te.

01:04:08 [W] Quindi, abbiamo un sacco di esperienza qui per sentire queste domande.

01:04:14 [W] Andy, fai un piccolo saluto.

01:04:16 [W] Eccolo. Va bene, quindi

01:04:21 [W] Vediamo.

01:04:21 [W] So che Andy stavi guardando anche le domande mentre arrivavano e potrebbe essere meglio se prendessi il tuo ordine come preferisci.

01:04:33 [W] Sì, assolutamente. Ciao, sono Abby, che parla di bowling qui.

01:04:36 [W] È bello essere con te oggi.

01:04:38 [W] Penso che io e Doreen possiamo risolvere queste domande.

01:04:41 [W] Quindi potremmo semplicemente fare una rapida sessione di domande e risposte, mentre esaminiamo molte delle domande.

01:04:45 [W] Speriamo di aver risposto nel, nella presentazione, ma possiamo.

01:04:50 [W] Attraverso di loro passo dopo passo. Quindi il primo che abbiamo Doreen è che ho Usher 2A.

01:04:56 [W] Il mio oculista non farà il test genetico per confermare. Quali altre opzioni ho vivendo nella parte occidentale, nella Carolina del Nord.

01:05:04 [W] Bene, prenderò quello.

01:05:05 [W] Mike, adorabile.

01:05:06 [W] Grazie per la domanda.

01:05:07 [W] La fondazione che combatte la cecità fa un meraviglioso programma di test genetici ad accesso aperto. E davvero, sono un po' scioccato nel sentire che il tuo medico non mi aiuterà a fare questo passo successivo come Doreen.

01:05:20 [W] Datato è un passaggio cruciale nella medicina genomica che stiamo sviluppando che è necessario conoscere il proprio gene genetico. Quindi probabilmente cercherei un altro dottore e proverei davvero a proporre le basi per combattere la cecità

01:12:59 [W] Azione che combatte la cecità, fa un meraviglioso Open. Accedi al programma di test genetici. E davvero, sono un po' scioccato nel sentire che il tuo medico non mi aiuterà a fare questo passo successivo, come ha presentato Doreen.

01:13:12 [W] È un passo cruciale nella medicina genomica.

01:13:15 [W] che stiamo sviluppando, che devi conoscere il tuo gene genetico.

01:13:20 [W] Quindi probabilmente cercherei un altro dottore e proverei davvero a proporre le basi per combattere la cecità. Test genetici gratuiti.

01:13:30 [W] La prossima domanda è Doreen.

01:13:34 [W] Qual è il nostro candidato ideale per la sperimentazione clinica?

01:13:38 [W] Penso che tu abbia parlato un po' dei criteri di ammissibilità. Ma hai qualcos'altro da aggiungere a questo?

01:13:44 [W] Ciao, sono Doreen.

01:13:46 [W] Sì, la cosa critica è che entrambi siete clinicamente diagnosticati e che avete un profilo generico che conferma a questo tipo di noi Chewie.

01:14:00 [W] Eccellente, 13 mutazione.

01:14:03 [W] Questo è assolutamente fondamentale perché l'ultevursen è preso di mira.

01:14:10 [W] per quella sottopopolazione.

01:14:15 [W] Altre cose che potrebbero essere interessanti da sapere è l'età.

01:14:19 [W] Abbiamo iniziato guardando solo alla popolazione adulta e grazie al feedback della community. Ci siamo subito resi conto che dovevamo ridurlo.

01:14:30 [W] Quindi ora, se hai 12 anni e più, potresti essere idoneo per questo periodo di prova.

01:14:40 [W] È fantastico.

01:14:40 [W] Grazie.

01:14:41 [W] La prossima domanda di Mark Tailed è che tipo di test è stato testato sugli animali, il che è corretto.

01:14:50 [W] E sai, abbiamo molte informazioni sul nostro sito Web se desideri continuare su questo, ma abbiamo fatto tutti gli elementi di sicurezza di cui avevamo bisogno per arrivare alle prove sugli esseri umani e Stellar è stato il primo nello studio sull'uomo.

01:15:05 [W] Che durante da Brian, cosa?

01:15:08 [W] percentuale di noi che viene presa di mira dal trattamento dell'esone 13

01:15:13 [W] Ciao, Doreen, di nuovo.

01:15:16 [W] È una piccola percentuale.

01:15:20 [W] È vero.

01:15:20 [W] Speriamo di poter iniziare con questa mutazione, ma prevediamo che in futuro lo sviluppo di farmaci.

01:15:31 [W] Esamineremo diverse mutazioni.

01:15:33 [W] Non conosco una cifra esatta della percentuale, ma stiamo prendendo un po' alla volta. Portare portando ciò che possiamo.

01:15:43 [W] Lei i pazienti e io aggiungo solo a questo. Sai, la tecnica specifica di exon 30 è Andrew Andy che parla, lo specifico o Krista.

01:15:54 [W] Vuoi entrare?

01:15:55 [W] Rivediamo il nostro interprete?

01:15:57 [W] indietro? No. Oh, beh, non si verifica interprete. Quindi solo un secondo.

01:16:03 [W] Chiedo scusa.

01:16:05 [W] Dina è tornata adesso, Melissa.

01:16:08 [W] Sai cos'è questo?

01:16:10 [W] è? Penso che Melissa stia prendendo il sopravvento. Bene.

01:16:12 [W] Buono.

01:16:14 [W] Ok, Sandy parlando qui durante spiegato abbastanza bene, sai, l'Exon 13 che salta nella sua specificità è che stiamo cercando di creare un Usher funzionante nelle proteine. E quindi se

01:16:29 [W] Circa tredici dodici e quattordici possono unirsi e creare quella Usher Usher più piccola ma funzionante nelle proteine ed è ciò che lo sviluppo clinico sta cercando di vedere se funziona.

01:16:41 [W] Prossima domanda, Doreen.

01:16:46 [W] Hai detto che il prossimo studio clinico richiederà due anni e tutto il resto.

01:16:53 [W] Abbiamo già fatto anche due anni.

01:16:56 [W] Io Doreen parlando.

01:16:58 [W] Quindi il primo studio clinico abbiamo seguito i pazienti per due anni.

01:17:04 [W] anni. Quindi hai sentito correttamente sono le fasi due, tre prove che sono appena iniziate. Seguiremo nuovamente i pazienti per almeno due anni.

01:17:18 [W] Inoltre, non l'abbiamo ancora menzionato.

01:17:20 [W] Stiamo fornendo Open Access attraverso uno studio di estensione.

01:17:26 [W] In modo che i pazienti che sono già stati trattati nel primo studio possano continuare a ricevere il trattamento fino a quando il trattamento non sarà generalmente disponibile.

01:17:40 [W] Grazie.

01:17:41 [W] Si tratta solo di parlare qui, Philly passa la cifra.

01:17:46 [W] Tre dei PDF, il ProQR pubblicato con i risultati dello studio Stellar al termine di quarantotto settimane, il beneficio per i non trattati.

01:17:54 [W] Ero più in alto del trattato.

01:17:55 [W] Come può essere?

01:17:56 [W] Posso, posso avere una pugnalata a quello. Quindi abbiamo visto che la medicina svanisce dopo un po' e questo è stato un elemento cruciale da comprendere nel nostro sviluppo perché in realtà ha dimostrato che la medicina a RNA che abbiamo sviluppato non è permanente.

01:18:04 [W] Non sta cambiando il tuo DNA.

01:18:06 [W] Quindi dovrai averlo ancora e ancora e quindi questa è una delle informazioni critiche. Ci siamo riuniti per i nostri studi di fase tre Sirio e Celeste.

01:18:18 [W] La prossima domanda, scendi.

01:18:25 [W] Oltre ai pochi di questi.

01:18:26 [W] Qual è il significato di only?

01:18:30 [W] Questo è di Monica.

01:18:31 [W] Grazie Monica. Qual è il significato della sola misurazione della bcva rispetto ai pazienti Usher, che potrebbero non avere problemi di acuità visiva, ma piuttosto sensibilità alla luce e visione a tunnel.

01:18:42 [W] Da cosa? Capisco. La nostra visione periferica pfx prima della visione centrale. Il medicinale funziona solo per stabilizzare la perdita della vista centrale.

01:18:51 [W] Posso avere una pugnalata.

01:18:53 [W] Oh Doreen.

01:18:53 [W] Ti piacerebbe andare?

01:18:56 [W] io mentre parlo

01:18:57 [W] Quindi stiamo esaminando i pazienti che hanno una malattia in fase iniziale che stanno iniziando a vedere una riduzione della visione periferica.

01:19:07 [W] Diventeremo sempre più ristretti in modo da iniziare ad avere un impatto sull'acuità visiva.

01:19:12 [W] Quindi il prodotto dovrebbe funzionare per entrambe le popolazioni perché il problema è lo stesso.

01:19:24 [W] Stiamo riparando sostituendo l'usciera di proteine necessarie per il funzionamento dei fotorecettori.

01:19:32 [W] Quindi stiamo misurando parametri diversi perché i pazienti si trovano in uno stadio diverso della malattia.

01:19:38 [W] Dovrei solo aggiungere che abbiamo menzionato i parametri principali, l'endpoint primario, ma misureremo un'intera gamma di endpoint secondari per scoprire cosa sta succedendo.

01:19:55 [W] Grazie.

01:19:56 [W] Torian è Andy che parla qui. Prossima domanda. Ma prima di farlo, sono sorte alcune domande.

01:20:03 [W] In che modo le persone si iscrivono alle sperimentazioni cliniche. E siamo estremamente entusiasti e c'è molto entusiasmo che lo sviluppo clinico richiede tempi diversi in aree geografiche diverse.

01:20:13 [W] Abbiamo in programma di avere siti in tutto il mondo dagli Stati Uniti.

01:20:18 [W] Ci auguriamo che il Canada, il Brasile e anche molti paesi in Europa.

01:20:24 [W] Ma ogni paese ha una linea temporale molto diversa per l'apertura di un sito clinico.

01:20:30 [W] Abbiamo diversi pezzi etici da fare in ciascuna di queste posizioni del sito.

01:20:36 [W] Quelli di voi in tutto il mondo che chiedono quando possono, quando ci si può iscrivere sarà, speriamo il prima possibile, il nostro team di ProQR. Siamo una piccola squadra e una piccola biotecnologia che lavora il più duramente e velocemente possibile.

01:20:51 [W] Lavorando il più duramente e velocemente possibile per aprire questi centri di sperimentazione clinica, ma vedrai sempre più informazioni arrivare al nostro sito Web all'indirizzo www.piofl.com.

01:21:05 [W] Dot-com e avrà informazioni aggiornate.

01:21:08 [W] Ogni volta che viene aperto un nuovo sito.

01:21:10 [W] Scusa. Doreen e 22.

01:21:14 [W] Prendi quello perché ce ne sono parecchi.

01:21:15 [W] Diamo un'occhiata ad alcuni di questi.

01:21:21 [W] Va bene, questo è abbastanza buono, a cui posso rispondere durante questo. È di David.

01:21:27 [W] Ti ho chiesto un gene. Sono più colpito in questo momento. Con RP come parte della mia malattia.

01:21:32 [W] Il mio dottore dice che non ho X su 13.

01:21:34 [W] Come posso sapere se l'eccellente 13 per me stesso?

01:21:37 [W] Il mio risultato genetico.

01:21:38 [W] Grazie.

01:21:38 [W] Bene, David, è una domanda fantastica.

01:21:40 [W] tu vorrei e avremmo ProQR sempre chiederti di parlare con il tuo medico della ricerca clinica.

01:21:46 [W] non un medico e la sagoma di Doreen. Non ha perso chilometri. Così

01:21:51 [W] Non posso dare consigli medici.

01:21:52 [W] Tuttavia, continua la discussione. Se il tuo medico ha detto che ti manca la X su 13, questa è un'informazione cruciale.

01:22:00 [W] E, sai, i test clinici non sono molto facili da leggere se posso essere onesto. Quindi, consiglieri sempre se puoi avere una consulenza genetica, se disponibile, oltre a parlare con altri medici per davvero

01:22:16 [W] Non ancora. Sfortunatamente, oggi non possiamo fornire direttamente una consulenza medica.

01:22:20 [W] Va bene, diamo un'occhiata.

01:22:23 [W] Doreen uno per te da Brendan Brendan. Abbiamo visto un'inversione della perdita della vista o della capacità di vedere al buio?

01:22:38 [W] Quindi, durante il discorso, abbiamo visto la stabilizzazione.

01:22:43 [W] Penso che sia il modo migliore per vederlo.

01:22:45 [W] C'è un certo grado di variabilità quando i test vengono eseguiti con risultati leggermente superiori leggermente inferiori.

01:22:56 [W] Quindi siamo sempre attenti nel processo a chiedere. Ad esempio, il bcva viene ripetuto più volte in modo da essere sicuri di noi

01:23:07 [W] Prendi un valore rappresentativo.

01:23:10 [W] Quindi, direi che finora. Stiamo assistendo alla stabilizzazione con un'iniezione.

01:23:18 [W] Quello che non sappiamo è cosa accadrà con iniezioni multiple.

01:23:23 [W] Quindi questo è qualcosa di cui siamo davvero entusiasti.

01:23:30 [W] parlando qui. Prossima domanda.

01:23:36 [W] Aspetto.

01:23:38 [W] Abbiamo risposto a molti di questi.

01:23:40 [W] Durante uno per te da Brendan Brendan. Abbiamo visto un'inversione della perdita della vista o della capacità di vedere al buio?

01:23:46 [W] Quindi, durante il discorso, abbiamo visto la stabilizzazione, penso sia il modo migliore per vederla.

01:23:54 [W] C'è un certo grado di variabilità quando i test vengono eseguiti con risultati leggermente superiori leggermente inferiori.

01:24:05 [W] Quindi siamo sempre attenti nel processo a chiedere. Ad esempio, il bcva viene ripetuto più volte in modo da essere sicuri di noi

01:24:16 [W] Prendi un valore rappresentativo.

01:24:18 [W] Quindi, direi che finora. Stiamo assistendo alla stabilizzazione con un'iniezione.

01:24:27 [W] Quello che non sappiamo è cosa accadrà con iniezioni multiple.

01:24:31 [W] Quindi questo è qualcosa di cui siamo davvero entusiasti. Sandy parla qui.

01:24:40 [W] Prossima domanda.

01:24:44 [W] Aspetto.

01:24:47 [W] Abbiamo risposto a molti di questi.

01:24:50 [W] Ah, ora questo è buono con questo trattamento precluso.

01:24:55 [W] ricevendo un altro trattamento genetico in futuro e posso provare ad affrontare questa domanda perché è una domanda. Otteniamo molto. Non abbiamo ancora visto nella sindrome di Usher altre prove che sono arrivate.

01:25:09 [W] Che cosa è molto utile con RNA? Svanisce?

01:25:14 [W] Quindi, tecnicamente o ipoteticamente, dovrei dire che non dovrebbe precluderti qualsiasi futuro basato sul DNA?

01:25:20 [W] Terapie, che penso sia il tipo di parte alla base della domanda. Detto questo, ho l'avvertenza in LCA10 e Doreen ha parlato dei nostri progressi con entusiasmo per i dati praticamente

01:34:51 [W] La menta preclude di ricevere un altro trattamento genetico in futuro e posso provare ad affrontare questa domanda perché è una domanda. Otteniamo molto.

01:35:00 [W] Non abbiamo ancora visto nella sindrome di Usher altre prove che sono arrivate.

01:35:06 [W] Che cosa è molto utile con RNA? Svanisce?

01:35:12 [W] tecnicamente o ipoteticamente dovrei dire che non dovrebbe precluderti da nessuna futura terapia basata sul DNA, che penso sia il tipo di base.

01:35:20 [W] Una parte bugiarda della domanda.

01:35:22 [W] Detto questo, ho l'avvertenza in LCA10 e Doreen ha parlato dei nostri progressi e siamo entusiasti dei dati praticamente entro la fine di questo mese.

01:35:34 [W] Speriamo in LCA10.

01:35:35 [W] Esiste un gene concorrente o basato sul DNA e hanno precluso le persone che hanno avuto una terapia con RNA nel loro studio.

01:35:45 [W] Quindi è davvero da compagnia a compagnia. Ipoteticamente, la nostra droga si esaurisce, o

01:35:51 [W] Alla fine lascia il tuo sistema, quindi non dovrebbe esserci alcun motivo per cui non puoi avere un trattamento basato sul DNA in futuro.

01:35:57 [W] Se uno si presenta come una domanda un po' difficile, ma spero di aver risposto in modo soddisfacente.

01:36:08 [W] Domanda sul prezzo del medicinale, quindi posso prendere anche questo.

01:36:13 [W] Quindi questa è una domanda comune che riceviamo. Come sono sicuro che puoi immaginare in questo momento. Lo sviluppo clinico di Ulteversen è troppo presto per iniziare a pensare al costo del trattamento.

01:36:25 [W] Questo dipenderà davvero dai dati e dall'importanza della medicina.

01:36:29 [W] Può essere, ma sfortunatamente siamo troppo all'inizio del processo per iniziare a pensarci.

01:36:38 [W] Destra.

01:36:48 [W] Diamo solo un'occhiata.

01:36:49 [W] Abbiamo risposto a molte di queste domande.

01:36:54 [W] Ehi, Doreen, forse uno per te di Ricardo.

01:37:03 [W] Aggiungere. Quindi questo è che non ti abbiamo mostrato i dati qui. Puoi. Puoi guardarlo sul sito web, in generale. Abbiamo visto, abbiamo visto una certa stabilizzazione. Stanno fino a, circa sei mesi e poi

01:37:18 [W] E poi sembrava che fosse giunto il momento per un'altra iniezione, il che faceva parte dei motivi. Volevamo fare un'iniezione. Ogni sei mesi per mantenere il

01:37:31 [W] Grazie alle nostre ginocchia, Andy parlando.

01:37:33 [W] Di nuovo qui.

01:37:34 [W] La prossima domanda della Virginia è molto buona.

01:37:38 [W] Quante iniezioni può sopportare l'Iowa o è per tutta la vita?

01:37:42 [W] Ora?

01:37:43 [W] Farò una pugnalata veloce.

01:37:44 [W] Davvero dati di sicurezza.

01:37:45 [W] Lo seguiamo con molta, molta attenzione e in realtà Sirius e Celeste sarà la prima volta che facciamo più iniezioni negli occhi, ma studieremo davvero la sicurezza attorno a questo e vedremo come posso farcela.

01:37:59 [W] Si iniezioni. Doreen. Hai qualcosa da aggiungere a questo?

01:38:04 [W] Tifo parlando solo per dire che in altre condizioni, la frequenza di iniezione.

01:38:12 [W] Quindi usare la stessa tecnica per malattie diverse può essere frequente come ogni mese. È una tecnica molto ben consolidata.

01:38:23 [W] Stiamo usando un basso volume di iniezione con un ago molto sottile, solo da medici esperti che sanno come usare la tecnica.

01:38:36 [W] Così è, è fattibile.

01:38:38 [W] Penso di continuare l'amministrazione a lungo termine.

01:38:44 [W] Grazie, Doreen.

01:38:45 [W] È qui sotto.

01:38:46 [W] Stiamo ricevendo molte domande sul perché, exon 13 e quando altri esoni arriveranno dopo.

01:38:52 [W] Questa è una domanda molto standard che riceviamo e ci proverò.

01:38:56 [W] Sono la Makin University o il centro del retinolo.

01:39:00 [W] È davvero guidato da questo e abbiamo un webinar meraviglioso che consiglieri a chiunque di andare a guardare è sul nostro canale YouTube dove entriamo davvero nella storia di exon 13 e, sai, dalla mia comprensione e dalla scienza

01:39:15 [W] Questo ha davvero portato a saltare Exon.

01:39:13 [W] Abbiamo visto che è davvero efficace la pratica e lo stesso salto da una prospettiva scientifica non è per ogni X in poi perché alla fine si tratta davvero di creare un usciere funzionale nelle proteine e abbiamo visto quel successo in

01:39:28 [W] Squadra e connessione alle 12 e alle 14.

01:39:29 [W] Quindi questa è la differenza.

01:39:31 [W] Consiglio vivamente a chiunque di andare sulla nostra pagina YouTube e guardarlo.

01:39:33 [W] è molto dettagliato. E ne abbiamo alcuni, abbiamo appena vinto un ragazzo meraviglioso chiamato Irwin e in bicicletta della Radley out University qui nei Paesi Bassi, che in realtà faceva parte del team originale che ha trovato l'Exon che saltava per

01:39:49 [W] In questo caso, e si addentra in una meravigliosa descrizione della scienza. Quindi, per favore, controllalo.

01:39:58 [W] Ci restano 10 minuti a Doreen. Quindi diamo un'occhiata ad altre domande.

01:40:13 [W] Heather chiede, è questa l'ultima fase della ricerca clinica?

01:40:20 [W] Doreen qui, in genere le prove cardine che abbiamo descritto dovrebbero essere la loro ultima fase per ottenere il permesso di registrazione.

01:40:32 [W] Stiamo ancora imparando molto su cosa può fare questa molecola.

01:40:38 [W] E quindi ci aspetteremmo di continuare a registrare la sicurezza e potrebbero esserci altre domande. Vogliamo rispondere a una domanda.

01:40:50 [W] Si sente spesso dire, possiamo fare quei pazienti di età inferiore ai 12 anni?

01:40:57 [W] E questo è qualcosa che siamo.

01:40:59 [W] Esamineremo per vedere se possiamo farlo.

01:41:04 [W] Quindi potrebbe essere una domanda presto, o potrebbe essere una domanda che possiamo solo ottenere il permesso di testare e bambini e bambini più piccoli.

01:41:14 [W] Grande.

01:41:14 [W] Grazie. Doris, Angiò parlando qui.

01:41:20 [W] Emmanuel, ho sentito che ci sarà uno studio di fase tre in Europa e lo studio avrà un gruppo fittizio.

01:41:28 [W] Quindi lo inizierò in manuale. Assolutamente. Speriamo di aprire la nostra struttura dei siti di sperimentazione clinica europei Sirius e Celeste il prima possibile nel 2022 e ci sarà una farsa su Doreen.

01:41:43 [W] Due.

01:41:42 [W] Sì, avere un controllo è davvero importante per ottenere dati convincenti. Quando si ha una malattia che può variare notevolmente da un paziente all'altro.

01:41:54 [W] È un, è un punto che non sta negoziando il tavolo con il regolatore.

01:42:02 [W] Vogliono davvero essere sicuri di proteggere il paziente che qualsiasi effetto che vediamo è un effetto reale e non un effetto casuale. Ed è per questo.

01:42:12 [W] Insistiamo sul fatto che abbiamo un controllo e in questa situazione, è una fitta trama di controllo.

01:42:21 [W] Siamo riusciti a ridurre il più possibile i numeri assegnati al gruppo Sham.

01:42:29 [W] Per mantenere la validità del processo.

01:42:33 [W] E questo è Andy che parla qui.

01:42:34 [W] Penso che sia davvero fondamentale. Come tutti voi.

01:42:37 [W] Avanti, il viaggio di ricerca clinica con noi è il fatto che, sai, dobbiamo fare alcune cose per assicurarci che i dati siano puliti e che mostriamo quanto più possibile l'effetto e che i bracci di controllo svolgono un ruolo in questo come bene.

01:42:52 [W] Un requisito normativo nella maggior parte dei casi.

01:42:56 [W] Diamo un'occhiata.

01:43:03 [W] Questa è una domanda di Sean, i risultati positivi del ProQR do mostrano che c'è un miglioramento di 8 lettere rispetto al controllo di 72 settimane.

01:43:11 [W] Ciò è quasi interamente dovuto alla generazione dell'atto del non trattato. In effetti, c'è un deterioramento di circa otto lettere, il non trattato, mi sembra estremamente rapido. Prenderesti in considerazione il tasso di DJ che normalmente per noi a un individuo?

01:43:26 [W] In teoria, non ci sarà alcun miglioramento della visione nella visione. E lo scenario migliore è la stabilizzazione nel trattamento. I indipendentemente dal tasso di deterioramento degli individui.

01:43:35 [W] Durante, mi vorresti?

01:43:36 [W] Ti piacerebbe prenderlo?

01:43:37 [W] Sì.

01:43:38 [W] durante la conversazione.

01:43:39 [W] Grazie. Grazie. Shawn per la domanda, il tasso di deterioramento come parte della malattia naturale, l'evoluzione.

01:43:48 [W] Questo è qualcosa che abbiamo condiviso con l'osservazione che sembra relativamente rapida nel corso dello studio, tieni presente che si tratta di un piccolo numero di pazienti

01:44:03 [W] I in sono studi cardine.

01:44:02 [W] Stiamo salendo.

01:44:03 [W] Ci saranno un totale di circa 200 pazienti nel programma di fase 2 3 per cercare di avere un'idea chiara tra il trattato e il non trattato.

01:44:16 [W] Quindi, per la prima parte, condividiamo, ciò che è tuo siamo allineati con il tuo commento sulla seconda parte.

01:44:27 [W] Possiamo aspettarci qualcosa di meglio che restare?

01:44:29 [W] Abelizzazione, una volta che i fotorecettori si sono deteriorati. Non si rigenerano.

01:44:40 [W] Questo è il motivo per cui stiamo cercando di preservare il numero massimo di fotorecettori e di essere sicuri di poter aiutare il loro funzionamento.

01:44:50 [W] Quindi c'è anche un grado di, sto imparando,

01:44:59 [W] E questo può portare a lievi miglioramenti, ma, se si tratti di un vero miglioramento sostenibile, è troppo presto per dirlo.

01:45:09 [W] Quindi, penso che la stabilizzazione sia il nostro obiettivo immediato e guarderemo con molta attenzione per vedere se possiamo fare qualcosa di meglio.

01:45:22 [W] È fantastico.

01:45:23 [W] Grazie. Andy sta parlando?

01:45:24 [W] È fantastico.

01:45:25 [W] Doreen.

01:45:25 [W] Grazie.

01:45:26 [W] Che è meraviglioso vedere una tale comunità impegnata.

01:45:28 [W] Stiamo cercando di passare.

01:45:29 [W] Sto anche facendo un po' di traduzioni per i nostri colleghi della Comunità latinoamericana in linea.

01:45:37 [W] Vale la pena notare. Speriamo di avere siti latinoamericani.

01:45:43 [W] Attualmente stiamo lavorando con il Brasile.

01:45:45 [W] Tuttavia vale la pena notare che lo facciamo. Se sei idoneo per lo studio. In passato abbiamo permesso alle persone di viaggiare.

01:45:53 [W] Bene, e paga per l'alloggio, che è tutto coperto dallo sponsor, che siamo noi per il processo per portarti al centro giusto.

01:46:00 [W] Vale anche la pena notare a questo punto che non posso davvero andare avanti senza ringraziare la Usher Coalition per tutto il loro aiuto in questo.

01:46:10 [W] Abbiamo appena iniziato una nuova iniziativa con la Usher Coalition e questo mi sta molto a cuore come persona responsabile all'interno di ProQR per la sensibilizzazione della comunità e ora

01:46:23 [W] Utilizzo del registro Usher Usher.

01:46:26 [W] davvero davanti a tutti voi.

01:46:28 [W] Come stiamo facendo oggi e ci stiamo davvero utilizzando per vedere se possiamo portarti nelle nostre prove.

01:46:35 [W] Vale la pena notare.

01:46:36 [W] Proq.

01:46:37 [W] Abbiamo trovato molto difficile reclutare la paura. Prove LCA10. Queste sono condizioni rare.

01:46:42 [W] Questa non è una malattia cardiaca o qualcosa del genere.

01:46:45 [W] Il più rapidamente possibile e portando questi.

01:46:46 [W] Speriamo che le medicine a tutti siano il più rapidamente possibile, giusto?

01:46:52 [W] Smetterò di inveire e andrò a fare altre domande mentre entriamo nel rettilineo finale qui.

01:46:58 [W] Doreen.

01:47:03 [W] Jim chiede, vedo che c'è un sito negli Stati Uniti.

01:47:07 [W] In Texas.

01:47:07 [W] Ci saranno altri siti intorno a noi, inclusa l'area di Washington? Penso di poterlo prendere Jim. Speriamo di avere diversi siti aperti negli Stati Uniti e, come ho detto prima, ogni sito ha una procedura etica diversa e

01:47:22 [W] Tutti i diversi processi di approvazione in modo da avere tutta la scienza e la sicurezza approvate. Da quel lato clinico.

01:47:30 [W] Noi facciamo.

01:47:31 [W] spero di averne un bel po' in America. Quindi guarda la nostra pagina web per gli aggiornamenti, oppure puoi contattarmi direttamente a Patient Info su ProQR.com. E conosco molto di voi. Sto riconoscendo alcuni nomi qui. Fare domande, chi, chi ci ha scritto

01:47:46 [W] Grazie per averci contattato.

01:47:46 [W] Stiamo facendo del nostro meglio per aprire i siti il più rapidamente possibile. Ma alcuni richiedono un po' più di tempo rispetto ad altri, il che è normale per la ricerca clinica.

01:47:59 [W] Penso che abbiamo risposto a molti di questi.

01:48:08 [W] Penso di sì.

01:48:16 [W] Molti di questi fanno domande mediche che sfortunatamente non possono rispondere direttamente.

01:48:22 [W] Vorrei che fosse così.

01:48:32 [W] Fammi controllare che era tutto questo. Fammi controllare la funzione chat per vedere cosa abbiamo qui.

01:48:41 [W] Sopportami.

01:48:42 [W] Tutti.

01:48:45 [W] Ci sono molte domande, quindi mi scuso.

01:48:50 [W] Questo è molto buono.

01:48:51 [W] Christina chiede, ci sono piani per iniettare anche QR-421a nell'orecchio per vedere se può influenzare la perdita dell'udito?

01:49:00 [W] Vuoi che prenda quella Doreen o salti? Salto. Ancora? Io posso.

01:49:05 [W] Posso provarci.

01:49:06 [W] Quindi, al momento stiamo davvero concentrando ultevursen negli occhi.

01:49:10 [W] Qualcosa che Daniel ha davvero ribadito.

01:49:12 [W] Quindi il nostro focus è davvero sull'oculare o in particolare ho questa domanda molto perché abbiamo un comitato interno. E anche uno dei membri del nostro comitato interno chiede dell'orecchio.

01:49:28 [W] Cosa accadrà in futuro, ma al momento, ProQR si sta concentrando solo sull'occhio e attraverso quello. Quindi non faremo anche l'orecchio.

01:49:37 [W] Destra.

01:49:44 [W] Consocio. Ci resta un minuto Krista. Vorresti che non arriveremo a tutti questi sfortunati.

01:49:48 [W] Sì, forse molto riposo. Vuoi unirti a un'acquisizione.

01:49:51 [W] Questa è Krista che parla.

01:49:53 [W] Sì, abbiamo ricevuto una quantità enorme di domande.

01:49:58 [W] Questo è così eccitante.

01:49:59 [W] Proprio quello che ci serve per vedere questo entusiasmo.

01:50:02 [W] Farò del mio meglio per catturare tutte le domande che potremmo non aver coperto. Ci sono state molte, sai, ripetizioni e tutto il resto, ma farò del mio meglio.

01:50:13 [W] Per documentarlo ed essere in grado di fare un po' di follow-up con le persone.

01:50:17 [W] So che molto è il supporto individuale e il tipo individuale di analisi dei test genetici medici e tutto il resto.

01:50:25 [W] Quindi questo è stato fantastico.

01:50:27 [W] Questo è stato così meraviglioso.

01:50:29 [W] Voglio ringraziare te, Doreen e Andy di nuovo, per la presentazione di oggi. E condividere queste informazioni importanti.

01:50:38 [W] Will, questa è una conversazione, sai, tra tutti i 200 e più di noi, giusto?

01:50:42 [W] In contatto con la Coalizione per la sindrome di Usher, contatta gli appalti e i siti di sperimentazione clinica, tutta quella roba, mentre viene lanciata. Queste informazioni verranno rese disponibili.

01:50:52 [W] Ma la Coalition è qui per aiutare tutti voi a cercare di scoprire se questo è qualcosa che funziona per voi è giusto per voi e quali potrebbero essere i prossimi passi.

01:51:04 [W] siamo risorsa. Per favore. Non esitare a contattarci e verrà fornita una registrazione di questo webinar con trascrizioni.

01:51:12 [W] Ins tutto questo pure. Quindi grazie, ancora una volta a tutti per aver fatto parte di questo e ne parleremo presto.

01:51:23 [W] Buon riposo della giornata e della serata. Grazie.