

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

00:19:21 [W] D'accord.

00:19:23 [W] Bonjour à tous.

00:19:27 [W] Vous voyez, beaucoup de gens passent, nous allons donner à chacun une minute pour se connecter.

00:19:40 [W] D'accord.

00:19:48 [W] Je vois encore les chiffres grimper.

00:19:51 [W] Nous avons une très grande participation aujourd'hui.

00:19:54 [W] C'est très excitant.

00:19:55 [W] Je vais donner environ 30 secondes supplémentaires aux participants pour se connecter, puis nous passerons en revue les fonctionnalités d'accessibilité disponibles aujourd'hui avant de passer à la présentation.

00:20:12 [W] Bon, alors salut tout le monde.

00:20:16 [W] Je m'appelle Krista Vasi et je suis le directeur exécutif de la Usher syndrome Coalition et je vous souhaite la bienvenue aujourd'hui pour cette présentation avant de faire plus d'accueil et d'introduction. Je veux passer en revue les fonctionnalités d'accessibilité

00:20:31 [W] Tout le monde a un accès complet.

00:20:29 [W] Nous avons une traduction en espagnol, vous pouvez donc l'activer en cliquant sur l'icône du globe dans la barre d'outils inférieure et en sélectionnant l'espagnol.

00:20:43 [W] Et si vous sélectionnez l'espagnol, vous avez la possibilité de couper le son anglais d'origine.

00:20:48 [W] Je vais donner à notre interprète espagnol une minute pour traduire cela et permettre aux participants d'activer cette traduction audio en espagnol.

00:20:57 [W] [...espagnole...]

00:21:34 [W] D'accord, j'espère que nos amis hispanophones sauteront sur l'audio espagnol en ce moment.

00:21:40 [W] Je profiterai de cette occasion pour me rappeler, ainsi qu'aux autres intervenants d'aujourd'hui, que nous avons de nombreux types d'interprètes différents.

00:21:51 [W] Je dois rattraper mon retard et m'identifier chaque fois que je parle ou l'un des autres présentateurs, il est toujours bon de s'identifier d'abord et de parler ensuite.

00:21:59 [W] Portons notre attention sur l'autre grande fonctionnalité d'accessibilité aujourd'hui, qui est Wordly.

00:22:07 [W] Il s'agit d'un système de traduction alimenté par l'IA qui traduira ce webinaire dans plus de 20 langues et l'activera

00:22:19 [W] Vous pouvez cliquer sur le lien que nous avons fourni dans la boîte de discussion, ou vous pouvez cliquer sur la flèche vers le bas. À côté du bouton en direct, en haut à gauche de votre écran et sélectionnez afficher

00:22:34 [W] Sur le service de diffusion en direct personnalisé qui ouvrira un onglet de navigateur. Cela a le mot mensonge.

00:22:42 [W] L'application Wordly que vous pouvez ensuite sélectionner votre langue et voir les sous-titres dans votre langue.

00:22:49 [W] Tu peux. Aussi s'il existe des options pour certaines langues pour écouter votre langue.

00:22:56 [W] Écoutez également The Voice. J'espère donc que tout le monde pourra accéder à la traduction Wordly pour tous ceux qui recherchent.

00:23:04 [W] Pour le sous-titrage et l'anglais. Nous avons activé la transcription de transe en direct dans Zoom.

00:23:11 [W] Alors, veuillez sélectionner l'icône CC en bas. À droite de l'écran dans votre barre de menus Zoom, vous activerez le sous-titrage.

00:23:19 [W] Vous pouvez également sélectionner les paramètres de sous-titres et ajuster la taille à vos besoins visuels.

00:23:26 [W] Voyons, nous avons nos interprètes ASL avec nous aujourd'hui également.

00:23:30 [W] Nous avons à la fois Melissa et Dina et j'aime que Melissa et Dina se saluent et s'identifient.

00:23:38 [W] Bonjour.

00:23:40 [W] Donc, quiconque utilise l'interprétation ASL aujourd'hui, vous pouvez épingler Melissa et Deena.

00:23:45 [W] Ils sont donc toujours visibles sur votre appareil personnel.

00:23:48 [W] Vous le ferez en cliquant. Les trois points en haut de leur vidéo et je pense que je pense que cela couvre les différentes accessibilités.

00:24:00 [W] Ca c'était quoi?

00:24:03 [W] Bon c'est le sous-titrage, le travail et les interprètes sont visibles.

00:24:12 [W] Bon espagnol.

00:24:15 [W] Apprendre la langue espagnole.

00:24:16 [W] Les interprètes sont prêts.

00:24:17 [W] Oui.

00:24:19 [W] Je vois beaucoup de oui.

00:24:22 [W] Merveilleux et génial.

00:24:25 [W] Je vais profiter de ce moment pour présenter brièvement Brian.

00:24:28 [W] Il est notre support technique.

00:24:30 [W] Si vous avez des questions ou des problèmes tout au long du webinaire, vous pouvez discuter directement avec Brian et il pourra vous aider.

00:24:37 [W] Bon, alors sur le spectacle, bienvenue à nouveau. Tout le monde avant de vous présenter nos invités de ProQR Therapeutics, je veux dire quelques mots pour montrer

00:24:52 [W] l'importance de cet moment.

00:24:54 [W] La Usher Syndrome Coalition a été formée il y a plus de 10 ans avec ce moment précis à l'esprit.

00:25:02 [W] Notre raison d'être est de combler le fossé entre les chercheurs et les personnes vivant avec le syndrome d'Usher.

00:25:10 [W] En 2008. La Coalition a été créée avec la conviction sincère que nous pouvions trouver du soutien et connecter toutes les personnes atteintes du syndrome d'Usher.

00:25:18 [W] Et ensuite s'assurer que les essais cliniques pour le syndrome d'Usher seraient couronnés de succès.

00:25:23 [W] Les personnes vivant avec cette condition.

00:25:24 [W] en termes simples, la recherche ne peut pas se produire. Sans vous, les traitements ne peuvent être développés sans vous. Les experts vivant avec le syndrome d'Usher.

00:25:35 [W] C'est pourquoi je suis incroyablement excité pour cette présentation d'aujourd'hui.

00:25:38 [W] Pour la première fois.

00:25:40 [W] Il existe un essai clinique de phase finale pour un traitement du syndrome d'Usher.

00:25:44 [W] C'est une étape importante qui mérite d'être reconnue et célébrée.

00:25:48 [W] Et bien que cet essai clinique particulier soit destiné à une population spécifique au sein de notre communauté élargie.

00:25:54 [W] Je sais que ce n'est que le début d'une nouvelle ère dans la recherche sur le syndrome d'Usher, dans laquelle la Coalition peut éventuellement rassembler tout le monde pour tous les types d'Usher.

00:26:05 [W] Avec la recherche qui leur sera bénéfique.

00:26:07 [W] Je suis donc ravi de vous présenter notre conférencier d'aujourd'hui.

00:26:10 [W] Doreen bois, de ProQR. Elle a récemment rejoint l'équipe et est chef de projet pour les essais sur le syndrome d'Usher dont vous allez entendre parler aujourd'hui.

00:26:19 [W] Alors, Doreen, je vais vous céder la parole.

00:26:24 [W] Merci.

00:26:24 [W] Merci.

00:26:28 [W] Pas de Krista. Bonjour à tous.

00:26:30 [W] Bon après-midi.

00:26:31 [W] Bonsoir.

00:26:32 [W] Je m'appelle Doreen Wood.

00:26:38 [W] Alors que nous continuons ces jours covid.

00:26:38 [W] Je fais.

00:26:39 [W] J'espère que vous allez tous bien.

00:26:41 [W] C'est ma première chance de vous rencontrer.

00:26:44 [W] Je suis nouveau sur ProQR, je connaissais l'ophtalmologie.

00:26:49 [W] Dans cette discussion aujourd'hui.

00:26:51 [W] Je voulais remercier la Usher Coalition pour son merveilleux partenariat continu avec Proqr.

00:26:58 [W] Nous considérons qu'il est crucial d'avoir des partenaires aussi solides qui nous tiennent responsables de soutenir notre développement clinique et de garantir votre voix.

00:27:09 [W] Vous la communauté est entendue haut et fort dans ProQR aujourd'hui. Je vais vous parler de ce que nous en tant que petit.

00:27:20 [W] Biotech basée dans la ville néerlandaise de Leiden et à Cambridge, Massachusetts. Que faisons-nous dans la science de l'RNA dans le syndrome d'Usher en particulier et d'autres affections oculaires génétiques.

00:27:35 [W] Juste pour me présenter.

00:27:33 [W] Mon rôle est de diriger le projet QR-421a pour nos actions.

00:27:40 [W] Mon expertise consiste à piloter le développement de nouveaux médicaments, à les apporter au patient. Juste avant de partager les diapositives. Je veux dire.

00:27:52 [W] J'espère que mon accent écossais n'est pas trop fort.

00:27:55 [W] N'hésitez pas à me dire de ralentir ou de parler plus clairement.

00:28:02 [W] Je vais donc parler pendant environ 30 minutes, ce qui devrait laisser beaucoup de temps pour vos questions.

00:28:23 [W] Et je viens de vérifier, vous pouvez voir une diapositive.

00:28:29 [W] Oui, merci.

00:28:36 [W] Ce sont des déclarations prospectives.

00:28:41 [W] Qui sommes nous?

00:28:42 [W] ProQR Thérapeutique?

00:28:44 [W] Thérapies RNA pour les personnes atteintes d'une maladie oculaire génétique avec pour mission d'arrêter la perte de vision, ou même d'inverser certains des symptômes dans le domaine des thérapies RNA, ProQR.

00:28:56 [W] L'avant-garde de la prestation de thérapies ciblées pour les personnes atteintes de maladies oculaires génétiques, que ce soit leur rétine ou l'arrière de l'œil, comme le syndrome d'Usher, ou Fuchs et éthéré

00:29:11 [W] Dystrophie, qui est la cornée ou le devant de l'œil.

00:29:22 [W] Ironie, thérapies, utilisation antisens antisens tout à l'heure. Les nucléotides plus sur ce que c'est.

00:29:30 [W] plus tard. Et ceux-ci sont spécifiquement conçus pour corriger la cause sous-jacente de la maladie dans l'RNA d'une personne afin d'arrêter la progression de la maladie ou même d'inverser les symptômes.

00:29:44 [W] Donc l'RNA, on parle d'acide ribonucléique et c'est un composant essentiel.

00:29:52 [W] De toutes les cellules vivantes.

00:29:53 [W] Je suis sûr que beaucoup d'entre vous ont déjà entendu parler de l'RNA ou de l'RNAm dû aux vaccins Pfizer et moderna.

00:30:04 [W] J'étais très enthousiaste à l'idée de recevoir le vaccin et de voir la science être déployée auprès d'une grande population.

00:30:12 [W] C'est donc très différent de la façon dont nous appliquons la science.

00:30:17 [W] C'est toujours cool.

00:30:21 [W] L'ironie est utilisée pour la traduction.

00:30:24 [W] C'est le processus par lequel les protéines sont créées dans la cellule.

00:30:30 [W] L'RNA lui-même est produit à partir de l'DNA.

00:30:34 [W] Savoir ce qu'est l'DNA grâce à Jurassic Park.

00:30:39 [W] Nous savons ce qui se passe lorsque vous mélangez un DNA de crapaud avec un DNA de dinosaure et ce n'est pas joli et la thérapie ironique est conçue pour corriger la mutation dans le

00:30:54 [W] une personne atteinte d'une maladie génétique en corrigeant l'erreur, l'RNA peut ensuite être utilisé pour créer la protéine dont la cellule a besoin pour éliminer la cause sous-jacente

00:31:08 [W] État.

00:31:11 [W] Avancez juste ici.

00:31:12 [W] Cette diapositive raconte donc l'histoire de notre société ProQR a été fondée en 2012 par votre PDG actuel.

00:31:23 [W] Daniel de Boer quelques années plus tôt. Daniel et sa famille ont été confrontés au diagnostic de fibrose kystique chez son fils nouveau-né.

00:31:34 [W] C'est une rareté. Maladie génétique incurable Daniel.

00:31:40 [W] Aide d'experts dans le domaine du développement de médicaments et formé ProQR pour aider les gens comme son fils.

00:31:49 [W] Lorsque des traitements viables contre la fibrose kystique sont apparus, Daniel s'est penché sur d'autres domaines de clairance.

00:31:57 [W] Besoin non satisfait élevé.

00:32:02 [W] A ce Point de Réflexion pour l'entreprise. Nous avons commencé le travail clinique et l'amaurose congénitale de type Leber, 10, ou LCA10 et donc, le virage naturel était là.

00:32:17 [W] Le temps ProQR s'est décalé.

00:32:19 [W] son accent sur les maladies oculaires génétiques.

00:32:25 [W] Depuis 2017, nous avons vu ProQR se concentrer et faire avancer la recherche clinique.

00:32:32 [W] C'est la recherche impliquant.

00:32:36 [W] Inviter les individus vivant avec LCA10 de type syndrome d'Usher à une rétinopathie autosomique dominante.

00:32:45 [W] Pigmentosa, et plus récemment la dystrophie cornéenne endothéliale de Fuchs.

00:32:54 [W] En janvier de l'année dernière, nous avons entièrement inscrit notre étude pivot de phase deux et trois dans LCA10, qui nous emmène en tant qu'entreprise dans une nouvelle ère où nous

00:33:09 [W] Pour prendre avec aux goûts des agences de réglementation, à la FDA à Ema et à l'Europe pour émettre, du charbon de bois au Royaume-Uni pour enregistrer une thérapie dans

00:33:20 [W] Vous 22.

00:33:18 [W] Donc, comme l'a dit Krista, c'est une période très excitante pour la communauté et pour nous en tant qu'entreprise.

00:33:35 [W] On estime que cinq millions de personnes dans le monde vivent actuellement avec des maladies oculaires génétiques, mais c'est probablement encore plus en raison d'un manque de sensibilisation aux tests génétiques,

00:33:50 [W] Et de notoriété publique pour la grande majorité de ces personnes.

00:33:56 [W] Il n'y a pas de traitement disponible pour la perte de vision et la cécité éventuelle qui peuvent survenir.

00:34:06 [W] Nous pensons que la meilleure façon de remplir cette mission est de développer des thérapies RNA pour les maladies génétiques de l'œil.

00:34:14 [W] Nous avons construit une plate-forme pour développer ces thérapies hautement ciblées afin de traiter la cause sous-jacente de la maladie et d'améliorer la vision.

00:34:28 [W] Et avec plus de 300 gènes identifiés qui causent des maladies oculaires génétiques.

00:34:35 [W] Il existe une immense opportunité de développer des thérapies pour les personnes dans le besoin, par exemple, LCA10 prendre la maladie. Cela provoque une erreur une mutation dans le

00:34:50 [W] Tout à cause de la mutation et de la protéine essentielle dans le I ne peut pas fonctionner ou est manquant, et cela conduit à la détérioration de la lumière, en détectant les cellules

00:35:04 [W] Aime détecter les cellules de la rétine.

00:35:14 [W] ainsi, dans le domaine de la thérapie par RNA, ProQR est à la pointe de la fourniture de thérapies ciblées pour les personnes atteintes de maladies oculaires génétiques, nos thérapies par RNA, l'utilisation,

00:35:30 [W] Je porte des thérapies à base d'RNA, j'utilise des nucléotides antisens qui sont spécifiquement conçus pour corriger la cause sous-jacente de la maladie dans l'état d'une personne et pour arrêter la maladie

00:35:46 [W] Ou même pour inverser les symptômes.

00:35:49 [W] Alors, quels sont ces, tous ces nucléotides antisens il y a tout, ils consistent en de courts tronçons d'RNA synthétique, qui sont chimiquement modifiés pour augmenter

00:36:05 [W] Et leur absorption dans les cellules.

00:36:09 [W] Cette technique est une approche établie pour traiter les maladies génétiques et elle est approuvée.

00:36:17 [W] thérapies RNA utilisées pour traiter les patients aujourd'hui.

00:36:23 [W] Alors, comment livrons-nous le traitement?

00:36:28 [W] Pour qu'un médicament fonctionne. Tout d'abord, il doit pénétrer dans le corps.

00:36:34 [W] Les thérapies par RNA fonctionnent mieux. S'ils sont délivrés directement dans l'organe affecté, dans le cas de maladies rétinienne, y a-t-il des thérapies qui peuvent être injectées dans le vitré

00:36:49 [W] C'est la cavité qui est remplie du liquide gélatineux de cette méthode d'administration.

00:36:55 [W] Il est connu sous le nom de vitriol introverti, injection ou IV T et c'est l'une des procédures les plus pratiquées pour les maladies oculaires.

00:37:06 [W] La procédure est effectuée par des médecins pour des affections courantes telles que la dégénérescence maculaire liée à l'âge pour la rétinopathie diabétique et l'occlusion de la veine rétinienne.

00:37:23 [W] Donc IV T est différent de l'injection sous-rétinienne. C'est la méthode utilisée pour la thérapie génique, qui nécessite une chirurgie rétinienne délicate.

00:37:41 [W] Quelle est la procédure d'entretien ?

00:37:44 [W] Injection de piste?

00:37:45 [W] l'ensemble de la procédure prend environ 10 à 15 minutes et vient d'être effectué dans le cabinet du médecin ?

00:37:52 [W] Pendant que le patient est assis sur une chaise ?

00:37:57 [W] L'œil est engourdi pour ne pas faire mal.

00:38:01 [W] Une fois l'œil préparé.

00:38:03 [W] L'individu sera invité à regarder dans une direction particulière.

00:38:07 [W] Alors que le médicament est injecté dans la partie blanche de l'œil avec une aiguille très fine.

00:38:19 [W] Alors, comment pouvons-nous tester nos molécules d'RNA ? Notre innovation ?

L'équipe est toujours à la recherche de nouvelles techniques.

00:38:29 [W] Nous utilisons de petites biopsies cutanées d'individus pour créer des modèles vivants de cupules optiques afin de tester nos médicaments et de voir si nous avons l'engagement de Target.

00:38:41 [W] avant même de l'injecter dans l'œil de quelqu'un.

00:38:47 [W] Sur l'ironie. Et quelle est la différence avec l'DNA pour ceux du webinaire qui pourraient ne pas voir le graphique ?

00:38:57 [W] Permettez-moi de le décrire en bas.

00:39:01 [W] Nous avons une double hélice d'DNA, comme moi. Imaginez. La plupart d'entre nous connaissent cela au-dessus de l'DNA.

00:39:09 [W] Nous avons un RNA simple brin. Comme mentionné précédemment. Cet RNA est utilisé pour la traduction.

00:39:17 [W] Dans le processus par lequel les protéines sont créées dans une cellule. L'RNA lui-même est produit à partir de l'DNA dans un processus appelé transcription.

00:39:35 [W] Thérapie génique.

00:39:36 [W] Effectue généralement des modifications permanentes de la thérapie génique par DNA, agit directement sur le gène responsable de la maladie et nécessite des vecteurs

00:39:51 [W] Les cellules cibles. L'édition de gènes change directement.

00:39:53 [W] L'DNA.

00:39:58 [W] En revanche, les thérapies à base d'RNA fonctionnent au niveau de l'RNA.

00:40:05 [W] Tous ont un effet transitoire et n'altèrent pas le génome.

00:40:12 [W] Ainsi, antisens tout à l'heure, les nucléotides n'ont pas besoin de vecteurs pour accéder aux cellules cibles.

00:40:19 [W] Nous reviendrons sur deux autres. Ceci plus tard.

00:40:29 [W] Donc, merci d'avoir été patient avec moi pour arriver à la partie de l'exposé qui, je pense, intéressera la plupart d'entre vous.

00:40:37 [W] Nos recherches en cours nous concernent pour une rétinite pigmentaire médiée et le syndrome d'Usher.

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

00:40:50 [W] C'est le nom du traitement.

00:40:52 [W] C'est une enquête.

00:40:56 [W] Thérapie RNA conçue pour ignorer l'exon 13 et l'RNA dans le but d'arrêter la perte de vision.

00:41:05 [W] Il est très spécifique à l'exon 13.

00:41:11 [W] C'est donc vraiment de la science génétique.

00:41:13 [W] Je tiens à remercier nos partenaires de la fondation combattant la cécité, qui ont vraiment soutenu financièrement notre programme.

00:41:25 [W] donc un peu sur le syndrome d'assurance et les progrès que nous faisons

00:41:32 [W] Nous avons parlé de la science. Et maintenant, je veux parler des nouvelles les plus récentes de mars. L'année dernière.

00:41:41 [W] Nous avons eu le plaisir d'annoncer les résultats positifs de notre étude clinique sur le syndrome d'Usher et la rétinite, appelée Stellar, qui a atteint tous ses objectifs déclarés.

00:41:56 [W] Cela marque une étape cruciale dans nos recherches en cours sur la thérapie expérimentale par RNA.

00:42:07 [W] Qr-421a un nom accrocheur.

00:42:09 [W] Je sais que cela semble arrêter la perte de vision chez les personnes ayant une mutation dans une partie spécifique de l'arcade vers un gène, la partie appelée Exon 13.

00:42:25 [W] Qr-421a, il fonctionne en se liant à la section mutée et il exclut l'exon 13 de l'RNA.

00:42:36 [W] Ping.

00:42:38 [W] Les cellules de la rétine peuvent alors produire une ruée légèrement plus courte mais fonctionnelle vers une protéine. L'essai clinique Stellar devait voir si cela pouvait arrêter ou inverser la vision

00:42:53 [W] Syndrome sûr.

00:43:02 [W] Donc, c'est une image de la conception de l'essai clinique. Les différentes phases du développement clinique consistent à collecter des données et des informations.

00:43:17 [W] Il convient de noter que cette conception consistait en trois doses différentes testées sur 20 participants aux essais cliniques avec une période de suivi de deux ans.

00:43:34 [W] Les participants ont été randomisés pour recevoir QR-421a ou Sean dans un œil et l'autre œil a été laissé.

00:43:48 [W] non traité comme témoin.

00:43:52 [W] Pour ceux de Sharm. Randomisez les participants lorsque j'ai subi une injection réelle d'introverti factice.

00:44:02 [W] Il n'y a donc pas eu de pénétration de l'œil.

00:44:06 [W] et le Sham. Le bras est utilisé uniquement à des fins de masquage.

00:44:13 [W] Alors qu'est-ce que je veux dire par masquage?

00:44:16 [W] C'est une façon de se cacher.

00:44:19 [W] Quel traitement le patient a-t-il reçu pour réduire les biais ?

00:44:28 [W] Compte tenu des taux de profit de progression de la maladie différents entre les participants et du petit nombre de participants experts. Croyez que le meilleur contrôle est le non traité,

00:44:43 [W] Je suis dans le même procès, participant.

00:44:47 [W] L'objectif de cette étude à dose unique était donc d'identifier à des fins d'enregistrement. Qu'est-ce que ces intervalles de dosage basés sur le début ?

00:44:58 [W] La pérennité et la décroissance de l'effet et la population cible pour la prochaine étape du développement clinique ?

00:45:11 [W] Et la bonne nouvelle est que l'étude a atteint tous ses objectifs déclarés.

00:45:19 [W] Nous avons également trouvé deux populations au début. Progression modérée de la maladie et progression avancée de la maladie à. C'est important et j'y reviendrai plus tard.

00:45:37 [W] Voici donc le résumé de ce que nous avons vu dans cet essai Stellar. Il s'agissait d'un essai clinique de phase 1, deux pour tester s'il est le

00:45:53 [W] Pour essai clinique pour tester, si c'est la molécule QR-421a est sans danger et l'effet sur la vision.

00:46:04 [W] Le médicament s'est avéré sûr et bien toléré sans gravité.

00:46:10 [W] Événements indésirables signalés.

00:46:14 [W] La preuve de concept clinique a été établie sur la meilleure acuité visuelle corrigée.

00:46:24 [W] c'est bcva ou vous le savez peut-être. Comme le tableau de l'œil également sur la périmétrie statique, qui sert à mesurer, le rétinol, la sensibilité.

00:46:36 [W] Et ceux-ci étaient soutenus par d'importants paramètres secondaires tels que

00:46:43 [W] Imagerie OCT, qui examine la rétine, l'épaisseur et la micropérimétrie.

00:46:53 [W] De plus, nous avons recueilli les informations clés pour faire avancer le programme, y compris l'inscription appropriée, et pointer les portes.

00:47:05 [W] L'intervalle de dosage à utiliser et la population d'étude optimale ont été identifiés pour le prochain essai.

00:47:15 [W] Je suis donc heureux de dire que nous nous sommes alors lancés le défi de commencer.

00:47:22 [W] Études pivots d'ici la fin de l'année dernière.

00:47:28 [W] L'un était dans la population de patients débutants à modérés, l'autre dans le groupe de la maladie avancée.

00:47:39 [W] Nous avons donc eu un défi difficile à relever d'ici la fin de l'année, et je suis très heureux de dire que les premiers patients ont maintenant reçu une dose en décembre.

00:47:54 [W] Nous avons constaté un bénéfice chez tous les patients traités dans l'étude Stellar.

00:48:00 [W] qui comprenait des participants à l'essai avec une perte de vision avancée, ainsi qu'une perte de vision précoce à modérée.

00:48:09 [W] Et cette définition entre les deux groupes sera importante pour les prochaines étapes de la recherche.

00:48:18 [W] Nous avons un blog complet et un briefing communautaire sur notre site Web.

00:48:23 [W] Si les gens sont intéressés à lire plus.

00:48:31 [W] Aucun, vu Krista nous a dit que beaucoup de gens voulaient en savoir plus sur les risques et la sécurité.

00:48:39 [W] C'est une partie essentielle de la recherche clinique.

00:48:42 [W] Nous a dit que beaucoup de gens voulaient connaître les risques et la sécurité.

00:48:48 [W] C'est une partie essentielle de la recherche clinique.

00:48:52 [W] Il convient de noter qu'il y a toujours un risque à mener ce type d'études et j'espère qu'en passant en revue les aspects de sécurité, nous pourrions vous montrer comment nous réalisons ces essais cliniques.

00:49:09 [W] Nous rendons ces essais cliniques aussi sûrs que possible.

00:49:12 [W] Nous prenons la sécurité très au sérieux et continuons à travailler avec les autorités réglementaires et les comités d'éthique pour nous assurer que les participants sont pris en charge tout au long de l'étude.

00:50:14 [W] Je m'excuse.

00:50:15 [W] Je pense que nous avons perdu la connexion pendant un moment.

00:50:17 [W] Oui.

00:50:20 [W] Bon, un instant.

00:50:34 [W] La sécurité était une grande partie de cet essai clinique, l'objectif principal de l'étude était axé sur la sécurité.

00:50:46 [W] Le Qr-421a s'est avéré sûr et bien toléré, avec plus de 3700 participants, jours de suivi.

00:50:56 [W] Cela équivaut à des années de suivi dans cette étude.

00:51:02 [W] Surtout, non, sérieux. Des événements indésirables ont été notés et il n'y a eu aucun cas d'inflammation.

00:51:11 [W] Cependant, un patient travaille dur de l'aggravation des cataractes préexistantes. Aux deux yeux. Les deux sont considérés comme non liés au traitement, les cataractes sont connues pour se produire dans le cadre de.

00:51:27 [W] De cataractes préexistantes aux deux yeux.

00:51:30 [W] Les deux sont considérés comme non liés au traitement, les cataractes sont connues pour survenir dans le cadre du syndrome d'Usher et surviennent chez plus de trente pour cent des patients.

00:51:47 [W] Aucune nouvelle cataracte n'a été signalée dans l'étude.

00:51:54 [W] Maculaire cystoïde, œdème, ou c, et e est fréquemment associé à une rétinite. Pigmentosa, et fait partie de l'histoire naturelle de la maladie dans plus de 30 pour cent

00:52:09 [W] A de la maladie et plus de 30% des patients.

00:52:14 [W] Il est généralement géré de manière adéquate avec des gouttes ophtalmiques topiques.

00:52:21 [W] Non, de nouveaux cas d'EMC sont survenus au cours de l'étude.

00:52:26 [W] Cependant, un patient qui avait déjà un CME, a été inscrit dans le groupe, recevant une dose de 200 microgrammes, le CME a progressé au cours de l'étude, mais a été

00:52:41 [W] Souriez aux personnes non gérées avec la thérapie standard de soins.

00:52:46 [W] Nous sommes donc ravis de voir que le QR-421a présente un profil aussi sûr et bien toléré dans cette étude.

00:53:21 [W] Mais que signifie un essai clinique réussi ?

00:53:26 [W] Outre le profil de sécurité.

00:53:27 [W] Nous avons également examiné la meilleure acuité visuelle corrigée et ce que nous avons vu était une stabilisation dans tous les yeux traités.

00:53:39 [W] À présent. Cela vaut la peine d'être noté.

00:53:42 [W] C'était seulement 11 injections.

00:53:47 [W] Une stabilisation de la vision a été observée chez les personnes traitées. I versus déclin chez les non traités.

00:53:55 [W] I chez tous les patients.

00:53:57 [W] Nous avons donc assisté à une détérioration du je non traité conformément à l'histoire naturelle.

00:54:05 [W] Chacun avait un avantage de six lettres sur le tableau des yeux.

00:54:10 [W] Et à la semaine 72. Il s'agissait d'un avantage en huit lettres montrant un effet soutenu compatible avec la longue demi-vie du QR-421a.

00:54:28 [W] Tous les participants traités avaient une large gamme de perte de vision ou d'acuité visuelle.

00:54:36 [W] Par conséquent, voir une stabilisation comme celle-ci était agréable à voir, mais nous avons appris quelque chose de plus.

00:54:46 [W] Que le changement de b.c., Une réponse bcva est motivée par la population à un stade avancé de la maladie.

00:54:57 [W] Maintenant, pourquoi est-ce important ?

00:54:58 [W] Nous commençons à apprendre ce que nous pourrions faire dans notre prochaine phase de développement clinique.

00:55:06 [W] Maintenant, nous avons vu la stabilisation dans l'œil traité après une dose unique.

00:55:14 [W] En se concentrant sur la population avancée, le bénéfice sur l'œil. Le graphique était un changement moyen de 9,3 lettres.

00:55:25 [W] Je veux dire une différence de 13 lettres à la semaine 72, le critère d'évaluation de la semaine 72 est donc le moment où nous examinerons le critère d'évaluation principal dans notre phase 3.

00:55:40 [W] Mi dans la population avancée, une étude appelée Sirius.

00:55:48 [W] Nous avons donc identifié des critères d'évaluation à proposer aux organismes de réglementation, qu'ils pourraient envisager pour un nouveau médicament, pour l'approbation du produit.

00:56:02 [W] Ce sont des bcva pour la population avancée et pour la population modérée précoce.

00:56:11 [W] Nous regardons plutôt la périmétrie statique.

00:56:17 [W] Nous avons vu les participants réagir sur des paramètres ou des mesures liés à leur stade initial de la maladie.

00:56:24 [W] Et nous avons également vu que les différents points finaux évoluent en concordance les uns avec les autres.

00:56:34 [W] Ainsi, dans cet essai Stellar, nous avons collecté toutes les informations.

00:56:37 [W] Nous devons passer à une étape charnière, nous rapprocher de l'enregistrement de ce médicament pour les patients.

00:56:54 [W] Donc, sur cette diapositive, nous avons montré la conception de l'étude pour Sirius.

00:56:58 [W] C'est chez les patients avancés.

00:57:01 [W] et si émis soumis à des protocoles pour les essais de phase 2, 3,

00:57:10 [W] la FDA a accepté notre proposition d'intervalle de dosage de six mois et l'a confirmé compte tenu du profil d'innocuité. Nous n'avons plus besoin de faire de dosage.

00:57:26 [W] Ainsi, ce premier essai nommé Sirius se concentrera sur la population avancée et utilisera bcva comme critère principal.

00:57:37 [W] Le deuxième essai que je vais montrer dans une minute est similaire, mais concernera la population précoce à modérée et utilisera la périmétrie statique comme

00:57:53 [W] Et utilisez la périmétrie statique comme critère principal.

00:57:59 [W] Ces deux populations avaient des caractéristiques différentes.

00:58:04 [W] Nous avons donc décidé de le structurer. Comme deux études parallèles qui nous donneront deux tirs aux buts, pour inscription.

00:58:15 [W] Donc, l'étude sérieuse utilise l'étalon-or de la bcva car nous savons que seules les personnes atteintes d'une maladie avancée peuvent répondre à ce point final.

00:58:30 [W] Il n'inclura que les patients qui présentent une certaine perte d'acuité visuelle au départ.

00:58:40 [W] Les patients de cette étude auront une acuité visuelle de 20/40 ou pire, ce qui signifie qu'ils peuvent tout lire, sauf les plus petites lignes sur les participants à l'essai clinique.

00:58:56 [W] Les bras recevront l'une des deux doses différentes de QR-421a. Tous les six mois, le critère principal ici, bcva et compte tenu de la taille de l'effet observé dans

00:59:10 [W] Et nous prévoyons d'évaluer le point final après 18 mois de suivi.

00:59:16 [W] L'objectif sera de stabiliser le bcva dans les yeux traités au QR-421a. Alors que l'on pouvait s'attendre à ce que le bras de contrôle se détériore et s'aligne sur le

00:59:31 [W] La maladie.

00:59:34 [W] Comme bcva est l'étalon-or en ophtalmologie, le développement de médicaments. Une lecture positive du rapport bénéfice/risque sur bcva soutiendrait, QR-421a

00:59:49 [W] Pour les patients avec nous à une mutation de l'exon 13.

00:59:58 [W] Donc, en parallèle, cela se ressemblera beaucoup. Mais c'est Céleste l'étude chez les patients précoces à modérés.

01:00:08 [W] Et ici, le critère principal est la périmétrie statique, mesurée à 12 mois, vingt points.

01:00:18 [W] L'un des principaux critères d'évaluation secondaires sera un cours sur la mobilité, et peut-être également l'OCT.

01:00:27 [W] Il s'agit de la tomographie par cohérence optique examinant l'épaisseur rétinienne.

01:00:35 [W] L'objectif ici pourra être de voir une amélioration de la périmétrie statique conformément aux données de seuil d'approbation réglementaire de l'essai Stellar.

01:00:47 [W] Ainsi, pour les deux études, nous prévoyons la lecture principale après un dosage répété, mais nous pouvons envisager d'ajuster le calendrier ou d'ajouter une analyse intermédiaire.

01:01:01 [W] Une fois que nous avons une ligne, ces plans.

01:01:03 [W] Avec les régulateurs.

01:01:08 [W] Alors maintenant, je sais quelque chose d'excitant.

01:01:13 [W] À un nom pour notre molécule.

01:01:16 [W] C'est avec plaisir que je vous informe.

01:01:18 [W] C'est un peu une exclusivité.

01:01:20 [W] Ce sont des nouvelles récentes que l'Organisation mondiale de la santé a approuvées ultevursen.

01:01:30 [W] C'est tout à fait comme le nom de cette molécule. Ce qui se produit est

01:01:43 [W] est-ce que nous fournissons des suggestions pour ce nom de propriété prioritaire international non exclusif et qui donnent leur approbation.

01:01:58 [W] Vraiment ravi de vous faire connaître ce jalon.

01:01:59 [W] Cela nous rapproche un peu plus de ce devenir un vrai produit.

01:02:05 [W] Donc en terminant, je voudrais dire un énorme.

01:02:09 [W] merci à l'auteur assure la coalition à Krista et Nancy d'avoir invité ProQR à venir ainsi qu'à vous tous d'avoir écouté et d'avoir participé à ce voyage avec nous en science génomique.

01:02:25 [W] Je suis heureux d'essayer de répondre à toutes les questions brûlantes que vous pourriez avoir.

01:02:28 [W] Merci.

01:02:37 [W] Merci beaucoup histoire.

01:02:39 [W] C'est Krista vasi qui parle.

01:02:41 [W] Et oui, nous avons de nombreuses questions qui nous parviennent et je sais que vous avez également votre collègue Andrew Bolan de ProQR avec vous.

01:02:53 [W] Donc, nous avons beaucoup d'expertise ici pour ressentir ces questions.

01:02:58 [W] Andy, fais un petit signe de la main.

01:03:00 [W] Le voilà. D'accord, alors

01:03:05 [W] Voyons voir.

01:03:06 [W] Je sais qu'Andy, vous regardiez également les questions au fur et à mesure qu'elles se présentaient et ce serait peut-être mieux. Si vous prenez en quelque sorte votre commande, votre commande préférée. Ouais, absolument.

01:03:18 [W] Salut, c'est Heidi, qui parle ici.

01:03:20 [W] C'est un plaisir d'être avec vous aujourd'hui.

01:03:22 [W] Je pense que Doreen et moi pouvons résoudre ces questions.

01:03:26 [W] Nous pourrions donc simplement faire une courte période de questions et réponses, au fur et à mesure que nous parcourons, beaucoup de questions.

01:03:30 [W] Nous espérons avoir répondu dans la, dans la présentation, mais nous le pouvons.

01:03:35 [W] À travers eux étape par étape. Donc, le premier que nous avons Doreen, c'est que j'ai Usher 2A.

01:03:41 [W] Mon ophtalmologiste ne fera pas le test génétique pour confirmer. Quelles autres options ai-je en vivant dans l'Ouest, en Caroline du Nord.

01:03:48 [W] Eh bien, je vais prendre celui-là.

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

01:03:53 [W] Merci beaucoup histoire.

01:03:54 [W] C'est Krista Vasi parlant.

01:03:56 [W] Et oui, nous avons de nombreuses questions qui nous parviennent et je sais que vous avez également votre collègue Andrew Bolan de ProQR avec vous.

01:04:08 [W] Donc, nous avons beaucoup d'expertise ici pour ressentir ces questions.

01:04:14 [W] Andy, fais un petit signe de la main.

01:04:16 [W] Le voilà. D'accord, alors

01:04:21 [W] Voyons voir.

01:04:21 [W] Je sais qu'Andy, vous regardiez également les questions au fur et à mesure qu'elles se présentaient et il serait peut-être préférable que vous preniez votre commande en quelque sorte votre commande préférée.

01:04:33 [W] Ouais, absolument. Salut, c'est Abby, qui parle ici.

01:04:36 [W] C'est un plaisir d'être avec vous aujourd'hui.

01:04:38 [W] Je pense que Doreen et moi pouvons résoudre ces questions.

01:04:41 [W] Donc, nous pourrions simplement faire une courte période de questions et réponses, au fur et à mesure que nous parcourons, un grand nombre de questions.

01:04:45 [W] Nous espérons avoir répondu dans la, dans la présentation, mais nous le pouvons.

01:04:50 [W] À travers eux étape par étape. Donc, le premier que nous avons Doreen, c'est que j'ai Usher 2A.

01:04:56 [W] Mon ophtalmologiste ne fera pas le test génétique pour confirmer. Quelles autres options ai-je à vivre dans l'Ouest, en Caroline du Nord.

01:05:04 [W] Eh bien, je vais prendre celui-là.

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

01:05:06 [W] Merci pour la question.

01:05:07 [W] La fondation qui lutte contre la cécité propose un merveilleux programme de tests génétiques en libre accès. Et vraiment, je suis un peu choqué d'apprendre que votre médecin ne m'aidera pas à passer à l'étape suivante en tant que Doreen.

01:05:20 [W] C'est une étape cruciale dans la médecine génomique que nous développons que vous devez connaître votre gène génétique. Donc, je chercherais probablement un autre médecin et j'essaierais vraiment de mettre en avant la fondation contre la cécité

01:12:59 [W] Action combattant la cécité, fait un merveilleux Open. Accéder au programme de tests génétiques. Et vraiment, je suis un peu choqué d'apprendre que votre médecin ne m'aidera pas à passer à l'étape suivante, comme Doreen l'a présenté.

01:13:12 [W] C'est une étape cruciale de la médecine génomique.

01:13:15 [W] que nous développons, que vous devez connaître votre gène génétique.

01:13:20 [W] Donc, je chercherais probablement un autre médecin et j'essaierais vraiment de mettre en avant la fondation contre la cécité. Test génétique gratuit.

01:13:30 [W] La question suivante est Doreen.

01:13:34 [W] Quel est notre candidat idéal pour l'essai clinique ?

01:13:38 [W] pense que vous avez parlé un peu des critères d'admissibilité. Mais avez-vous autre chose à ajouter à cela ?

01:13:44 [W] Salut, c'est Doreen.

01:13:46 [W] Oui, l'essentiel est que vous soyez tous les deux diagnostiqués cliniquement et que vous ayez un profil générique qui confirme à ce genre de nous Chewie.

01:14:00 [W] Excellent, 13 mutations.

01:14:03 [W] C'est absolument essentiel parce que l'ultevursen est ciblé.

01:14:10 [W] pour cette sous-population.

01:14:15 [W] D'autres choses qui pourraient être intéressantes à savoir sont l'âge.

01:14:19 [W] Nous avons commencé par nous intéresser uniquement à la population adulte et grâce aux commentaires de la communauté. On s'est vite rendu compte qu'il fallait réduire ça.

01:14:30 [W] Alors maintenant, si vous avez 12 ans et plus, vous pouvez être éligible pour cet essai.

01:14:40 [W] C'est génial.

01:14:40 [W] Merci.

01:14:41 [W] La question suivante de Mark Tailed est de savoir quel type a été testé sur des animaux, ce qui est correct.

01:14:50 [W] Et vous savez, nous avons beaucoup d'informations sur notre site Web si vous souhaitez suivre cela, mais nous avons fait tous les éléments de sécurité dont nous avons besoin pour passer aux essais sur l'homme et Stellar était la première étude sur l'homme.

01:15:05 [W] Que pendant de Brian, quoi?

01:15:08 [W] pourcentage d'entre nous qui sont ciblés par le traitement de l'Exon 13

01:15:13 [W] Re-bonjour, Doreen.

01:15:16 [W] C'est un petit pourcentage.

01:15:20 [W] C'est vrai.

01:15:20 [W] Nous espérons que nous pourrions commencer avec cette mutation, mais nous anticipons cela dans le développement futur de médicaments.

01:15:31 [W] Nous examinerons différentes mutations.

01:15:33 [W] Je ne connais pas le chiffre exact du pourcentage, mais nous prenons un peu à la fois. Apporter apporter ce que nous pouvons.

01:15:43 [W] Elle les patients et je vais juste ajouter à cela. Vous savez, la technique spécifique d'exon 30, c'est Andrew Andy qui parle, le spécifique ou Krista.

01:15:54 [W] Voulez-vous entrer?

01:15:55 [W] Avons-nous retrouvé notre interprète ?

01:15:57 [W] retour? Non. Oh, eh bien ne se produit pas interprète. Donc juste une seconde.

01:16:03 [W] Je m'excuse.

01:16:05 [W] Dina est de retour maintenant, Melissa.

01:16:08 [W] Savez-vous ce que cela est?

01:16:10 [W] est? Je pense que Melissa prend le relais. D'accord.

01:16:12 [W] Bon.

01:16:14 [W] D'accord, Sandy parlant ici pendant a assez bien expliqué, vous savez, l'Exon 13 qui saute dans sa spécificité est que nous essayons de créer un Usher fonctionnel dans la protéine. Et donc si

01:16:29 [W] Quelque treize douze et quatorze ans peuvent se réunir et créer cette protéine Usher Usher plus petite mais fonctionnelle et c'est ce que le développement clinique essaie de voir si cela fonctionne.

01:16:41 [W] Question suivante, Doreen.

01:16:46 [W] Avez-vous dit que le prochain essai clinique prendra deux ans et tout ça.

01:16:53 [W] Nous avons déjà fait deux ans aussi.

01:16:56 [W] Je parle Doreen.

01:16:58 [W] Ainsi, lors du premier essai clinique, nous avons suivi des patients pendant deux ans.

01:17:04 [W] ans. Donc, vous avez bien entendu, ce sont les essais de la phase deux, trois qui viennent de commencer. Nous suivrons à nouveau les patients pendant au moins deux ans.

01:17:18 [W] De plus, nous ne l'avons pas encore mentionné.

01:17:20 [W] Nous fournissons le libre accès par le biais d'une étude d'extension.

01:17:26 [W] Ainsi, les patients qui ont déjà été traités dans le cadre du premier essai peuvent continuer à recevoir un traitement jusqu'à ce que le traitement devienne généralement disponible.

01:17:40 [W] Merci.

01:17:41 [W] Il ne s'agit de parler ici, Philly passe sur la figure.

01:17:46 [W] Trois des PDF, le ProQR publié avec les résultats de l'étude Stellar au bout de quarante huit semaines, le bénéfice pour les non traités.

01:17:54 [W] J'étais supérieur au traité.

01:17:55 [W] Comment est-ce possible ?

01:17:56 [W] Je peux essayer ça. Nous avons donc vu que le médicament s'estompe au bout d'un moment et c'était un élément crucial à comprendre dans notre développement, car en fait, cela a montré que le médicament à base d'RNA que nous avons développé n'est pas permanent.

01:18:04 [W] Cela ne change pas votre DNA.

01:18:06 [W] Vous devrez donc l'avoir encore et encore et c'est donc l'une des informations essentielles. Nous avons réuni pour nos études de phase trois Sirius et Celeste.

01:18:18 [W] La prochaine question, descendre.

01:18:25 [W] Outre les quelques-uns d'entre eux.

01:18:26 [W] Quelle est la signification de seulement?

01:18:30 [W] C'est de Monica.

01:18:31 [W] Merci Monique. Quelle est l'importance de mesurer uniquement bcva par rapport aux patients Usher, qui peuvent ne pas avoir de problèmes d'acuité visuelle, mais plutôt une sensibilité à la lumière et une vision en tunnel.

01:18:42 [W] De quoi ? Je comprend. Notre vision périphérique pfx avant la vision centrale. Le médicament ne fonctionne-t-il que pour stabiliser la perte de vision centrale.

01:18:51 [W] Je peux avoir un coup de poignard.

01:18:53 [W] Ah Doreen.

01:18:53 [W] Voudriez-vous aller?

01:18:56 [W] Je pendant la prise de parole.

01:18:57 [W] Nous examinons donc des patients qui ont une maladie à un stade précoce et qui commencent à voir une réduction de la vision périphérique.

01:19:07 [W] Nous deviendrons de plus en plus étroits de sorte que nous commencerons à avoir un impact sur l'acuité visuelle.

01:19:12 [W] Le produit devrait donc fonctionner pour les deux populations car le problème est le même.

01:19:24 [W] Nous réparons en remplaçant la protéine inaugurale nécessaire au fonctionnement des photorécepteurs.

01:19:32 [W] Nous mesurons donc différents paramètres parce que les patients sont à un stade différent de la maladie.

01:19:38 [W] Je dois juste ajouter que nous avons mentionné les principaux paramètres, le critère principal, mais nous allons mesurer toute une gamme de critères secondaires pour savoir ce qui se passe.

01:19:55 [W] Merci.

01:19:56 [W] Torian, c'est Andy qui parle ici. Question suivante. Mais avant de faire cela, il y a quelques questions qui nous viennent à l'esprit.

01:20:03 [W] Comment les gens s'inscrivent-ils aux essais cliniques. Et nous sommes extrêmement excités et il y a beaucoup d'enthousiasme, le développement clinique prend des moments différents dans différentes zones géographiques.

01:20:13 [W] Nous prévoyons d'avoir des sites partout dans le monde à partir des États-Unis.

01:20:18 [W] Nous espérons que le Canada, le Brésil et pas mal de pays d'Europe aussi.

01:20:24 [W] Mais chaque pays a un calendrier très différent pour l'ouverture d'un site clinique.

01:20:30 [W] Nous avons différentes pièces éthiques à faire dans chacun de ces sites.

01:20:36 [W] Ceux d'entre vous à travers le monde qui demandent quand ils peuvent, quand vous pouvez vous inscrire, ce sera, nous l'espérons dès que possible, notre équipe de ProQR. Nous sommes une petite équipe et une petite biotech qui travaillent aussi dur et aussi vite que possible.

01:20:51 [W] Nous travaillons aussi dur et aussi vite que possible pour ouvrir ces centres d'essais cliniques, mais vous verrez de plus en plus d'informations arriver sur notre site Web à l'adresse www.piofl.com.

01:21:05 [W] Dot-com et aura des informations mises à jour.

01:21:08 [W] Chaque fois qu'un nouveau site est ouvert.

01:21:10 [W] Pardon. Dorine et 22.

01:21:14 [W] Prenez celui-là car il y en a pas mal.

01:21:15 [W] Jetons un coup d'œil à certains d'entre eux.

01:21:21 [W] D'accord, c'en est une assez bonne, à laquelle je peux répondre pendant ce temps. Vient de David.

01:21:27 [W] Je vous ai demandé un gène. Je suis plus touché en ce moment. Avec RP dans le cadre de ma maladie.

01:21:32 [W] Mon médecin dit que je n'ai pas X sur 13.

01:21:34 [W] Comment puis-je savoir si l'excellent 13 pour moi?

01:21:37 [W] Mon résultat génétique.

01:21:38 [W] Merci.

01:21:38 [W] Eh bien, David, c'est une question fantastique.

01:21:40 [W] vous je voudrais et nous aurions ProQR toujours vous demander de parler à votre médecin de la recherche clinique.

01:21:46 [W] pas un médecin et contour Doreen. Elle n'a pas perdu de kilomètres. Alors

01:21:51 [W] Impossible de donner un avis médical.

01:21:52 [W] Cependant, continuez la discussion. Si votre médecin vous a dit qu'il vous manquait le X sur 13, c'est une information cruciale.

01:22:00 [W] Et, vous savez, les tests cliniques ne sont pas très faciles à lire si je peux être honnête. Donc, je recommanderais toujours si vous pouvez avoir un conseil génétique, s'il est disponible, ainsi que parler à d'autres médecins pour vraiment

01:22:16 [W] Pas encore. Malheureusement, nous ne pouvons pas donner de conseils médicaux directement aujourd'hui.

01:22:20 [W] Très bien, jetons un coup d'œil.

01:22:23 [W] Doreen un pour vous de Brendan Brendan. Avons-nous vu une inversion de la perte de la vue ou la capacité de voir dans l'obscurité ?

01:22:38 [W] Donc, pendant le discours, nous avons vu une stabilisation.

01:22:43 [W] Je pense que c'est la meilleure façon de le voir.

01:22:45 [W] Il existe un degré de variabilité lorsque les tests sont effectués avec des résultats de test légèrement supérieurs légèrement inférieurs.

01:22:56 [W] Donc, nous sommes toujours prudents dans le procès à demander. Par exemple, le bcva est répété plusieurs fois afin que nous soyons sûrs que nous

01:23:07 [W] Prendre une valeur représentative.

01:23:10 [W] Donc, je dirais que jusqu'à présent. On assiste à une stabilisation avec une seule injection.

01:23:18 [W] Ce que nous ne savons pas, c'est ce qui se passera avec les injections multiples.

01:23:23 [W] C'est donc quelque chose qui nous passionne vraiment.

01:23:30 [W] parler ici. Question suivante.

01:23:36 [W] Voir.

01:23:38 [W] Nous avons répondu à beaucoup d'entre eux.

01:23:40 [W] Pendant un pour vous de Brendan Brendan. Avons-nous vu une inversion de la perte de la vue ou la capacité de voir dans l'obscurité ?

01:23:46 [W] Donc, pendant le discours, nous avons vu une stabilisation, je pense que c'est la meilleure façon de le voir.

01:23:54 [W] Il existe un degré de variabilité lorsque les tests sont effectués avec des résultats de test légèrement supérieurs légèrement inférieurs.

01:24:05 [W] Donc, nous sommes toujours prudents dans le procès à demander. Par exemple, le bcva est répété plusieurs fois afin que nous soyons sûrs que nous

01:24:16 [W] Prendre une valeur représentative.

01:24:18 [W] Donc, je dirais que jusqu'à présent. On assiste à une stabilisation avec une seule injection.

01:24:27 [W] Ce que nous ne savons pas, c'est ce qui se passera avec les injections multiples.

01:24:31 [W] C'est donc quelque chose qui nous passionne vraiment. Sandy parle ici.

01:24:40 [W] Question suivante.

01:24:44 [W] Voir.

01:24:47 [W] Nous avons répondu à beaucoup d'entre eux.

01:24:50 [W] Ah, maintenant c'est un bon avec ce traitement exclure.

01:24:55 [W] obtenir un autre traitement génétique à l'avenir et je peux essayer d'aborder cette question parce que c'est une question. Nous recevons beaucoup. Nous n'avons pas encore vu d'autres essais dans le syndrome d'Usher.

01:25:09 [W] Qu'est-ce qu'un très utile avec l'RNA? Est-ce que ça s'use.

01:25:14 [W] Donc, techniquement ou hypothétiquement, devrais-je dire que cela ne devrait pas vous exclure de tout futur basé sur l'DNA ?

01:25:20 [W] Les thérapies, qui, je pense, sont le genre de partie sous-jacente de la question. Cela étant dit, j'ai la mise en garde dans LCA10 et Doreen a parlé de nos progrès avec des données enthousiasmées à peu près

01:34:51 [W] Mint m'empêche de recevoir un autre traitement génétique à l'avenir et je peux essayer de répondre à cette question parce que c'est une question. Nous recevons beaucoup.

01:35:00 [W] Nous n'avons pas encore vu d'autres essais dans le syndrome d'Usher.

01:35:06 [W] Qu'est-ce qu'un très utile avec l'RNA? Est-ce que ça s'use.

01:35:12 [W] techniquement ou hypothétiquement devrais-je dire que cela ne devrait pas vous exclure de futures thérapies basées sur l'DNA, ce qui, je pense, est du genre sous-jacent.

01:35:20 [W] Une partie mensongère de la question.

01:35:22 [W] Cela étant dit, j'ai la mise en garde dans LCA10 et Doreen a parlé de nos progrès et nous sommes ravis des données à peu près d'ici la fin de ce mois.

01:35:34 [W] Nous espérons en LCA10.

01:35:35 [W] Il existe un gène concurrent ou basé sur l'DNA, et ils ont exclu les personnes qui ont eu une thérapie à l'RNA dans leur essai.

01:35:45 [W] C'est donc vraiment d'entreprise à entreprise. Hypothétiquement, notre médicament s'élimine, ou

01:35:51 [W] Quitte éventuellement votre système, donc il ne devrait y avoir aucune raison pour que vous ne puissiez pas avoir un traitement basé sur l'DNA à l'avenir.

01:35:57 [W] Si l'on se présente comme une question un peu difficile, mais j'espère y avoir répondu de manière satisfaisante.

01:36:08 [W] Question sur le prix du médicament pour que je puisse aussi prendre celui-ci.

01:36:13 [W] C'est donc une question courante que nous recevons. Comme je suis sûr que vous pouvez l'imaginer en ce moment. Le développement clinique d'ultevursen est tout simplement trop tôt pour que nous commencions à réfléchir au coût du traitement.

01:36:25 [W] Cela dépendra vraiment des données et de l'importance de la médecine.

01:36:29 [W] C'est possible, mais nous sommes malheureusement trop tôt dans le processus pour même commencer à y penser.

01:36:38 [W] À droite.

01:36:48 [W] Jetons un coup d'œil.

01:36:49 [W] Nous avons répondu à beaucoup de ces questions.

01:36:54 [W] Hé, Doreen, peut-être un pour toi de Ricardo.

01:37:03 [W] Ajouter. Donc, c'est que nous ne vous avons pas montré les données ici. Tu peux. Vous pouvez le consulter sur le site Web, en général. On a vu, on a vu une certaine stabilisation. Ils sont jusqu'à, environ six mois, puis

01:37:18 [W] Et puis il semblait qu'il était temps pour une autre injection, ce qui faisait partie des raisons. Nous voulions faire une piqûre. Tous les six mois pour garder le le

01:37:31 [W] Merci à nos genoux, Andy qui parle.

01:37:33 [W] Encore ici.

01:37:34 [W] La prochaine question de Virginia est très bonne.

01:37:38 [W] Combien d'injections l'Iowa peut-il supporter ou est-ce à vie ?

01:37:42 [W] À présent?

01:37:43 [W] Je vais avoir un coup de poignard rapide.

01:37:44 [W] Vraiment des données de sécurité.

01:37:45 [W] Nous suivons cela très, très attentivement et en fait Sirius et Celeste seront la première fois que nous ferons plusieurs injections dans l'œil, mais nous allons vraiment étudier la sécurité autour de cela et voir comment je peux faire avec.

01:37:59 [W] Il injecte. Dorène. Avez-vous quelque chose à ajouter à cela?

01:38:04 [W] Acclamations parlant juste pour dire que dans d'autres conditions, la fréquence d'injection.

01:38:12 [W] Ainsi, l'utilisation de la même technique pour différentes maladies peut être aussi fréquente que tous les mois. C'est une technique très bien établie.

01:38:23 [W] Nous utilisons un faible volume d'injection avec une aiguille très fine, uniquement par des médecins qualifiés qui savent utiliser la technique.

01:38:36 [W] C'est donc, c'est faisable.

01:38:38 [W] Je pense continuer l'administration à long terme.

01:38:44 [W] Merci, Dorien.

01:38:45 [W] C'est en dessous ici.

01:38:46 [W] Nous recevons beaucoup de questions sur pourquoi, exon 13 et quand d'autres exons viendront ensuite.

01:38:52 [W] C'est une question très courante que nous recevons et je vais tenter de le faire.

01:38:56 [W] Je suis Makin University ou sur le centre de rétinol.

01:39:00 [W] Cela a vraiment motivé cela et nous avons un merveilleux webinar que je recommanderais à quiconque d'aller regarder sur notre chaîne YouTube où nous entrons vraiment dans l'histoire d'exon 13 et et vous savez, d'après ma compréhension et la science

01:39:15 [W] Cela a vraiment amené Exon à sauter.

01:39:13 [W] Nous avons vu que c'était vraiment efficace la pratique et le saut lui-même d'un point de vue scientifique n'est pas pour chaque X parce qu'en fin de compte, il s'agit vraiment de créer un huissier fonctionnel des protéines et nous avons vu ce succès dans

01:39:28 [W] Équipe et connexion à 12 et 14.

01:39:29 [W] Voilà donc la différence.

01:39:31 [W] Je recommanderais vivement à quiconque d'aller sur notre page YouTube et de regarder cela.

01:39:33 [W] c'est très détaillé. Et nous avons certains des, nous venons de gagner un merveilleux gars appelé Irwin et un vélo de l'université de Radley ici aux Pays-Bas, qui faisait en fait partie de l'équipe d'origine qui a trouvé l'Exon en train de sauter à

01:39:49 [W] Dans ce cas, et il entre dans une merveilleuse description de la science. Veuillez donc vérifier cela.

01:39:58 [W] Il nous reste 10 minutes Doreen. Jetons donc un coup d'œil à d'autres questions.

01:40:13 [W] Heather demande, est-ce la dernière phase de la recherche clinique ?

01:40:20 [W] Doreen ici, généralement, les essais pivots que nous avons décrits devraient être leur dernière étape pour obtenir l'autorisation d'enregistrement.

01:40:32 [W] Nous en apprenons encore beaucoup sur ce que cette molécule peut faire.

01:40:38 [W] Et donc nous nous attendons à continuer à enregistrer la sécurité et il peut y avoir d'autres questions. Nous voulons répondre à une question.

01:40:50 [W] Nous entendons souvent est, pouvons-nous faire ces patients de moins de 12 ans?

01:40:57 [W] Et c'est quelque chose que nous sommes.

01:40:59 [W] Nous allons examiner si nous pouvons le faire.

01:41:04 [W] Donc, cela pourrait être une question bientôt, ou ce peut être une question que nous ne pouvons obtenir que la permission de tester et des enfants et des enfants plus jeunes.

01:41:14 [W] Super.

01:41:14 [W] Merci. Doris, Anjou parlant ici.

01:41:20 [W] Emmanuel J'ai entendu dire qu'il allait y avoir une étude de phase trois en Europe et que l'étude aurait un groupe fictif.

01:41:28 [W] Donc je vais commencer ça en manuel. Absolument. Nous espérons ouvrir nos sites d'essais cliniques européens Sirius et Celeste dès que possible en 2022, et il y aura une imposture sur Doreen.

01:41:43 [W] Deux.

01:41:42 [W] Oui, avoir un contrôle est vraiment important pour obtenir des données convaincantes. Lorsque vous avez une maladie qui peut varier considérablement d'un patient à l'autre.

01:41:54 [W] C'est un, c'est un point qui n'est pas à la table des négociations avec le régulateur.

01:42:02 [W] Ils veulent vraiment être sûrs de protéger le patient que tout effet que nous voyons est un effet réel et non un effet fortuit. Et c'est pourquoi.

01:42:12 [W] Ils insistent pour que nous ayons un contrôle et dans cette situation, c'est un faux contrôle.

01:42:21 [W] Nous avons pu garder les nombres assignés au groupe Sham aussi petits que possible.

01:42:29 [W] Pour garder la validité du procès.

01:42:33 [W] Et c'est Andy qui parle ici.

01:42:34 [W] Je pense que c'est vraiment la clé. Comme vous tous.

01:42:37 [W] Venez, le voyage de recherche clinique avec nous est le fait que, vous savez, nous devons faire certaines choses pour nous assurer que les données sont propres et que nous montrons autant que possible l'effet et que les bras de contrôle jouent un rôle dans cela comme bien.

01:42:52 [W] Une exigence réglementaire dans la plupart des cas.

01:42:56 [W] Regardons.

01:43:03 [W] C'est une question de Sean, les résultats positifs du ProQR do, montrent qu'il y a une amélioration de 8 lettres par rapport au contrôle de 72 semaines.

01:43:11 [W] Ceci est presque entièrement dû à la génération d'actes des non-traités. En fait, il y a une détérioration d'environ huit lettres, le non traité, cela semble extrêmement rapide. Considérez-vous le taux de DJ qui nous convient normalement à des particuliers ?

01:43:26 [W] En théorie, il n'y aura pas d'amélioration Envision de la vision. Et le meilleur scénario est la stabilisation chez les personnes traitées. I quel que soit le taux de détérioration des individus.

01:43:35 [W] Pendant, m'aimerais-tu ?

01:43:36 [W] Voudriez-vous prendre ça ?

01:43:37 [W] Oui.

01:43:38 [W] pendant la prise de parole.

01:43:39 [W] Merci. Merci. Shawn pour la question, le taux de détérioration dans le cadre de la maladie naturelle, Evolution.

01:43:48 [W] C'est quelque chose que nous avons partagé cette observation qu'il semble relativement rapide au cours de l'essai, veuillez garder à l'esprit qu'il s'agit d'un petit nombre de patients

01:44:03 [W] J'en suis des études pivots.

01:44:02 [W] Nous montons.

01:44:03 [W] Il y aura au total environ 200 patients dans le programme de phase 2 3 pour essayer de se faire une idée claire entre les traités et les non traités.

01:44:16 [W] Donc, pour la première partie, nous partageons, ce que vous êtes, nous sommes alignés sur votre commentaire sur la deuxième partie.

01:44:27 [W] Peut-on espérer mieux que de rester ?

01:44:29 [W] Abelisation, une fois les photorécepteurs détériorés. Ils ne se régénèrent pas.

01:44:40 [W] C'est pourquoi nous cherchons à conserver le maximum de photorécepteurs et à être sûrs là que nous pouvons aider leur fonctionnement.

01:44:50 [W] Donc il y a aussi un diplôme de, j'apprends,

01:44:59 [W] Et cela peut conduire à de légères améliorations, mais s'il s'agit d'une véritable amélioration durable, il est beaucoup trop tôt pour le dire.

01:45:09 [W] Donc, je pense que la stabilisation est notre objectif immédiat et nous examinerons très attentivement si nous pouvons faire mieux que cela.

01:45:22 [W] C'est génial.

01:45:23 [W] Merci. Est-ce qu'Andy parle ?

01:45:24 [W] C'est génial.

01:45:25 [W] Dorien.

01:45:25 [W] Merci.

01:45:26 [W] Ce qui est merveilleux de voir une telle communauté engagée.

01:45:28 [W] Nous essayons de passer.

01:45:29 [W] Je fais aussi un peu de traduction pour nos collègues de la communauté latino-américaine en ligne également.

01:45:37 [W] Cela vaut la peine d'être noté. Nous espérons avoir des sites latino-américains.

01:45:43 [W] Nous travaillons actuellement avec le Brésil.

01:45:45 [W] Cependant, il convient de noter que nous le faisons. Si vous êtes admissible à l'étude. Dans le passé, nous avons permis aux gens de voyager.

01:45:53 [W] Eh bien, et payer l'hébergement, tout est couvert par le sponsor, c'est-à-dire nous pour l'essai pour vous amener au bon centre.

01:46:00 [W] Il convient également de noter à ce stade que je ne peux vraiment pas continuer sans remercier la Usher Coalition pour toute son aide dans ce domaine.

01:46:10 [W] Nous venons de lancer une nouvelle initiative avec la Usher Coalition et cela me tient à cœur en tant que personne responsable au sein de ProQR pour la sensibilisation communautaire et maintenant

01:46:23 [W] Utilisation du registre Usher Usher.

01:46:26 [W] vraiment devant vous tous.

01:46:28 [W] Comme nous le faisons aujourd'hui et que nous utilisons vraiment pour voir si nous pouvons vous faire participer à nos essais.

01:46:35 [W] Il est à noter.

01:46:36 [W] Proqr.

01:46:37 [W] Nous avons eu beaucoup de mal à recruter la peur. Essais LCA10. Ce sont des conditions rares.

01:46:42 [W] Ce n'est pas une maladie cardiaque ou quelque chose comme ça.

01:46:45 [W] Le plus rapidement possible et en les apportant.

01:46:46 [W] Nous espérons des médicaments pour tout le monde le plus rapidement possible, n'est-ce pas ?

01:46:52 [W] Je vais arrêter de fulminer et j'irai pour plus de questions alors que nous entrons dans la dernière ligne droite ici.

01:46:58 [W] Dorène.

01:47:03 [W] Jim demande, je vois qu'il y a un site aux États-Unis.

01:47:07 [W] Au Texas.

01:47:07 [W] Y aura-t-il d'autres sites autour de nous, y compris la région de DC ? Je pense que je peux prendre ça Jim. Nous espérons avoir plusieurs sites ouverts aux États-Unis, et comme je l'ai déjà mentionné, chaque site a une procédure d'éthique différente et

01:47:22 [W] Tous les différents processus d'approbation afin que nous ayons toute la science et la sécurité approuvées. Par ce côté clinique.

01:47:30 [W] Nous faisons.

01:47:31 [W] J'espère en avoir pas mal en Amérique. Alors, surveillez notre page Web pour les mises à jour, ou vous pouvez me contacter directement à info patient sur ProQR.com. Et je connais beaucoup d'entre vous. Je reconnais certains noms ici. Poser des questions, qui, qui nous ont écrit

01:47:46 [W] Merci de nous avoir contactés.

01:47:46 [W] C'est le cas, nous faisons de notre mieux pour ouvrir les sites le plus rapidement possible. Mais certains prennent un peu plus de temps que d'autres, ce qui est normal pour la recherche clinique.

01:47:59 [W] Je pense que nous avons répondu à beaucoup de ces questions.

01:48:08 [W] Ouais, je pense.

01:48:16 [W] Un grand nombre d'entre eux posent des questions médicales qui ne peuvent malheureusement pas y répondre directement.

01:48:22 [W] J'aimerais que ce soit le cas.

01:48:32 [W] Permettez-moi de vérifier que c'était tout cela. Permettez-moi de vérifier la fonction de chat pour voir ce que nous avons ici.

01:48:41 [W] Ours avec moi.

01:48:42 [W] Toutes les personnes.

01:48:45 [W] Il y a beaucoup de questions, alors excusez-moi.

01:48:50 [W] C'est un très bon.

01:48:51 [W] Christina demande, est-il prévu d'injecter également du QR-421a a dans l'oreille pour voir si cela peut affecter la perte auditive ?

01:49:00 [W] Voulez-vous que je prenne cette Doreen ou que je saute ? Saut. Encore? Je peux.

01:49:05 [W] Je peux essayer ça.

01:49:06 [W] Donc, pour le moment, nous nous concentrons vraiment sur les ultevursen dans les yeux.

01:49:10 [W] Quelque chose que Daniel a vraiment répété.

01:49:12 [W] Donc, nous nous concentrons vraiment sur l'oculaire ou plus précisément, je reçois souvent cette question parce que nous avons un comité interne. Et l'un des membres de notre comité interne pose également des questions sur l'oreille.

01:49:28 [W] Que se passera-t-il dans le futur, mais pour le moment, ProQR se concentre uniquement sur l'œil et à travers cela. Nous ne ferons donc pas l'oreille aussi.

01:49:37 [W] À droite.

01:49:44 [W] Conscient. Il nous reste une minute Krista. Souhaitez-vous que nous n'allons pas arriver à tous ces malheureux.

01:49:48 [W] Ouais, peut-être beaucoup de repos. Vous souhaitez rejoindre une reprise.

01:49:51 [W] C'est Krista qui parle.

01:49:53 [W] Oui, nous avons reçu une quantité écrasante de questions.

01:49:58 [W] Cela est si excitant.

01:49:59 [W] Juste ce qu'il faut pour voir cet enthousiasme.

01:50:02 [W] Je ferai de mon mieux pour saisir toutes les questions que nous n'avons peut-être pas abordées. Il y a eu beaucoup de, vous savez, de répétitions et tout, mais je ferai de mon mieux.

01:50:13 [W] Pour en quelque sorte documenter cela et être en mesure de faire un suivi auprès des individus.

01:50:17 [W] Je sais qu'il s'agit en grande partie d'un soutien individuel et d'une sorte d'analyse de tests génétiques médicaux individuels et ainsi de suite.

01:50:25 [W] Cela a donc été fantastique.

01:50:27 [W] Cela a été si merveilleux.

01:50:29 [W] Je tiens à vous remercier encore une fois, Doreen et Andy, pour votre présentation d'aujourd'hui. Et partager cette information importante.

01:50:38 [W] Will, c'est une conversation, tu sais, entre nous plus de 200, n'est-ce pas ?

01:50:42 [W] En contact avec la Usher Syndrome Coalition, contactez l'approvisionnement et les sites d'essais cliniques, tout ça, au fur et à mesure de son déploiement. Est-ce que cette information viendra devenir disponible.

01:50:52 [W] Mais la Coalition est là pour vous aider à tous essayer de savoir si c'est quelque chose qui fonctionne pour vous et quelles pourraient être les prochaines étapes.

01:51:04 [W] nous sommes une ressource. S'il te plaît. N'hésitez pas à nous contacter et un enregistrement de Ce webinaire sera fourni avec des transcriptions.

01:51:12 [W] C'est aussi tout ça. Alors merci, encore une fois à tous d'avoir participé à tout cela et nous en parlerons bientôt.

01:51:23 [W] Passez une merveilleuse fin de journée et de soirée. Merci.