

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

00:19:21 [W] 괜찮아.

00:19:23 [W] 여러분, 안녕하세요.

00:19:27 [W] 많은 사람들이 방문하고 있습니다. 우리는 모든 사람에게 1분 동안 로그인할 수 있는 시간을 줄 것입니다.

00:19:40 [W] 괜찮아.

00:19:48 [W] 숫자가 계속 올라가는 것을 보고 있습니다.

00:19:51 [W] 오늘은 아주 많은 인원이 참석했습니다.

00:19:54 [W] 이것은 매우 흥미진진합니다.

00:19:55 [W] 참석자가 로그인할 수 있도록 30초 정도 더 시간을 드린 다음 프레젠테이션을 시작하기 전에 오늘 사용할 수 있는 접근성 기능을 살펴보겠습니다.

00:20:12 [W] 그럼 모두 안녕히 계세요.

00:20:16 [W] 저는 Krista Vasi이고 Usher Syndrome Coalition의 전무이사입니다. 환영 및 소개를 더 하기 전에 오늘 이 프레젠테이션을 위해 여러분 모두를 환영합니다. 접근성 기능을 살펴보고 싶습니다.

00:20:31 [W] 모든 사람이 전체 액세스 권한을 가집니다.

00:20:29 [W] 스페인어 구어 번역이 있으므로 하단 도구 모음에서 지구 아이콘을 클릭하고 스페인어를 선택하여 사용할 수 있습니다.

00:20:43 [W] 스페인어를 선택하면 원래 영어 오디오를 음소거할 수 있는 옵션이 있습니다.

00:20:48 [W] 스페인어 통역사에게 잠시 시간을 내어 번역하고 참석자들이 스페인어 번역 오디오를 켤 수 있도록 할게요.

...

00:21:34 [W] 자, 이제 스페인어를 하는 친구들이 지금 바로 스페인어 오디오에 뛰어들고 있기를 바랍니다.

00:21:40 [W] 저는 이 기회를 사용하여 오늘 우리의 다른 연사들과 마찬가지로 우리에게 다양한 유형의 통역사가 있음을 상기시킬 것입니다.

00:21:51 [W] 나는 말을 할 때나 다른 발표자 중 누구라도 따라잡을 수 있고 자신을 식별해야 합니다. 항상 먼저 자신을 식별한 다음 발언하는 것이 좋습니다.

00:21:59 [W] 오늘은 다른 큰 접근성 기능인 Wordly에 대해 알아보겠습니다.

00:22:07 [W] 이것은 이 웨비나를 20개 이상의 언어로 번역하고 활성화하는 AI 기반 번역 시스템입니다.

00:22:19 [W] 채팅 상자에 제공된 링크를 클릭하거나 아래쪽 화살표를 클릭할 수 있습니다. 라이브 버튼 옆, 화면 왼쪽 상단에서 보기를 선택합니다.

00:22:34 [W] 브라우저 탭을 표시하는 사용자 지정 라이브 스트리밍 서비스에서 거짓말이라는 말이 있습니다.

00:22:42 [W] 그러면 언어를 선택하고 해당 언어로 된 캡션을 볼 수 있는 Wordly 앱입니다.

00:22:49 [W] 당신은 할 수 있습니다. 또한 일부 언어가 귀하의 언어를 들을 수 있는 옵션이 있는 경우.

00:22:56 [W] 보이스도 들어보세요. 따라서 모든 사람이 찾는 사람을 위해 Wordly 번역에 액세스할 수 있기를 바랍니다.

00:23:04 [W] 캡션 및 영어용. Zoom에서 실시간 트랜스 트랜스크립션을 활성화했습니다.

00:23:11 [W] 따라서 하단의 CC 아이콘을 선택하십시오. 확대/축소 메뉴 표시줄의 화면 오른쪽에서 캡션을 컵니다.

00:23:19 [W] 자막 설정을 선택하고 시각적 요구에 맞게 크기를 조정할 수도 있습니다.

00:23:26 [W] 봅시다, 우리는 오늘 우리와 함께 ASL 통역사를 가지고 있습니다.

00:23:30 [W] 우리에게는 Melissa와 Dina가 있고 나는 Melissa와 Dina가 손을 흔들고 자신을 식별하는 것을 좋아합니다.

00:23:38 [W] 여보세요.

00:23:40 [W] 따라서 오늘날 ASL 통역을 사용하는 사람은 누구나 Melissa와 Deena를 고정할 수 있습니다.

00:23:45 [W] 따라서 개인 장치에서 항상 볼 수 있습니다.

00:23:48 [W] 클릭하면 됩니다. 그들의 비디오 상단에 있는 세 개의 점과 나는 그것이 다른 접근성을 커버한다고 생각합니다.

00:24:00 [W] 그게 뭐였지?

00:24:03 [W] 좋은 것은 캡션, 작업 및 통역사가 표시됩니다.

00:24:12 [W] 좋은 스페인어.

00:24:15 [W] 스페인어를 배우십시오.

00:24:16 [W] 통역사가 모두 준비되어 있습니다.

00:24:17 [W] 예.

00:24:19 [W] 예를 많이 보고 있습니다.

00:24:22 [W] 훌륭하고 훌륭합니다.

00:24:25 [W] 브라이언을 소개하는 시간을 갖도록 하겠습니다.

00:24:28 [W] 그는 우리의 기술 지원입니다.

00:24:30 [W] 웨비나 전반에 걸쳐 질문이나 문제가 있는 경우 Brian과 직접 채팅할 수 있으며 그가 도와드릴 수 있습니다.

00:24:37 [W] 자, 쇼로 넘어가겠습니다. 다시 오신 것을 환영합니다. ProQR Therapeutics의 손님을 소개하기 전에 Mark에게 몇 마디 하고 싶습니다.

00:24:52 [W] 이 순간에 반대한다면.

00:24:54 [W] Usher syndrome Coalition은 10년 전에 바로 이 순간을 염두에 두고 결성되었습니다.

00:25:02 [W] 우리의 존재 이유는 연구자와 어서 증후군을 앓고 있는 사람들 사이의 격차를 해소하는 것입니다.

00:25:10 [W] 2008년. Coalition은 지원을 찾고 모든 사람을 Usher 증후군에 연결할 수 있다는 진심 어린 믿음으로 만들어졌습니다.

00:25:18 [W] 그런 다음 어서 증후군에 대한 임상 시험이 성공할 수 있는지 확인하십시오.

00:25:23 [W] 이 상태로 사는 사람들.

00:25:24 [W] 간단히 말해서 연구는 일어날 수 없습니다. 당신 없이는 치료법이 개발될 수 없습니다. 어서 증후군과 함께 사는 전문가.

00:25:35 [W] 그래서 오늘 발표가 무척 기대됩니다.

00:25:38 [W] 처음으로.

00:25:40 [W] 어서 증후군 치료제에 대한 최종 단계 임상 시험이 있습니다.

00:25:44 [W] 이것은 인정하고 축하할 가치가 있는 이정표입니다.

00:25:48 [W] 그리고 이 특정 임상 시험은 더 넓은 커뮤니티 내의 특정 인구를 대상으로 합니다.

00:25:54 [W] 나는 이것이 연합이 궁극적으로 모든 유형의 Usher를 위해 모든 사람을 한데 모을 수 있는 Usher 증후군 연구 1의 새로운 시대의 시작일 뿐이라는 것을 압니다.

00:26:05 [W] 그들에게 도움이 될 연구와 함께.

00:26:07 [W] 그래서 오늘 우리의 연사를 소개하게 된 것을 기쁘게 생각합니다.

00:26:10 [W] Proqr의 Doreen 나무. 그녀는 최근에 팀에 합류했으며 오늘 듣게 될 Usher 증후군 시험의 프로젝트 리더입니다.

00:26:19 [W] 그래서, Doreen, 당신에게 그것을 전달할 것입니다.

00:26:24 [W] 감사합니다.

00:26:24 [W] 감사합니다.

00:26:28 [W] 크리스 스텝. 여러분, 안녕하세요.

00:26:30 [W] 좋은 오후예요.

00:26:31 [W] 좋은 저녁이에요.

00:26:32 [W] 제 이름은 도린 우드입니다.

00:26:38 [W] 우리가 이 covid 나날을 계속하면서.

00:26:38 [W] 그래요.

00:26:39 [W] 모두 건강하시길 바랍니다.

00:26:41 [W] 이것은 당신을 만날 첫 번째 기회입니다.

00:26:44 [W] 저는 ProQR이 처음이고 안과에 대해 알고 있습니다.

00:26:49 [W] 오늘 이 토론에서.

00:26:51 [W] 나는 그들의 놀라운 지속적인 파트너십에 대해 Usher Coalition에 감사를 표하고 싶습니다. Proqr.

00:26:58 [W] 우리는 우리의 임상 개발을 지원하고 귀하의 목소리를 확인하는 데 책임이 있는 강력한 파트너를 확보하는 것이 중요하다고 생각합니다.

00:27:09 [W] 당신의 커뮤니티는 오늘날 ProQR에서 크고 명확하게 들립니다. 나는 우리가 작은 것에 대해 이야기 할 것입니다.

00:27:20 [W] 메사추세츠 주 케임브리지에 있는 네덜란드 라이덴 시를 기반으로 하는 생명공학 회사. 특히 어셔 증후군 및 기타 유전적 안구 질환의 RNA 과학에서 우리는 무엇을 하고 있습니까?

00:27:35 [W] 그냥 나를 소개합니다.

00:27:33 [W] 제 역할은 우리 주식의 QR-421a 프로젝트를 이끄는 것입니다.

00:27:40 [W] 내 전문 지식은 환자에게 제공하기 위해 신약 개발을 주도하는 것입니다. 슬라이드를 공유하기 직전입니다. 나는 말하고 싶다.

00:27:52 [W] 내 스코틀랜드 억양이 너무 강하지 않기를 바랍니다.

00:27:55 [W] 속도를 늦추거나 더 명확하게 말하라고 주저하지 마십시오.

00:28:02 [W] 그래서 저는 약 30분 동안 이야기할 것입니다. 이 시간은 귀하의 질문에 많은 시간을 할애할 것입니다.

00:28:23 [W] 그리고 확인해보니 슬라이드가 보이네요.

00:28:29 [W] 네, 감사합니다.

00:28:36 [W] 이것은 미래예측 진술입니다.

00:28:41 [W] 우리는 누구인가?

00:28:42 [W] ProQR 치료학?

00:28:44 [W] 시력 상실을 막거나 심지어 RNA 요법 분야의 일부 증상을 역전시키는 임무를 가진 유전적 눈 상태를 가진 개인을 위한 RNA 요법, ProQR.

00:28:56 [W] Usher 증후군 또는 Fuchs 및 ethereal과 같은 유전 적 안구 질환이 있는 사람들을 위한 표적 요법 제공의 최전선

00:29:11 [W] 각막 또는 눈의 앞쪽인 영양 장애.

00:29:22 [W] 아이러니, 요법, 안티센스 안티센스를 사용합니다. 그것이 무엇인지에 대한 더 많은 뉴클레오티드.

00:29:30 [W] 나중에. 그리고 이것은 질병의 진행을 막거나 심지어 증상을 역전시키기 위해 사람의 RNA에 있는 질병의 근본 원인을 바로잡도록 특별히 고안되었습니다.

00:29:44 [W] 그래서 RNA, 우리는 리보핵산에 대해 이야기하고 있으며 이것은 필수 구성요소입니다.

00:29:52 [W] 모든 살아있는 세포의.

00:29:53 [W] 화이자 및 모더나 백신으로 인해 RNA 또는 mRNA에 대해 많이 들어보셨을 것입니다.

00:30:04 [W] 많은 사람들에게 과학이 보급되는 것을 보기 위해 백신을 맞고 매우 기뻐합니다.

00:30:12 [W] 따라서 우리가 과학을 적용하는 방법과 매우 다릅니다.

00:30:17 [W] 여전히 멋지다.

00:30:21 [W] 아이러니는 번역에 사용됩니다.

00:30:24 [W] 이것은 세포에서 단백질이 생성되는 과정입니다.

00:30:30 [W] RNA 자체는 DNA에서 생성됩니다.

00:30:34 [W] 쥘라기 공원 때문에 DNA가 무엇인지 알았습니다.

00:30:39 [W] 두꺼비의 DNA와 공룡의 DNA를 섞으면 어떤 일이 일어나는지 우리는 알고 있습니다.

그리고 그것은 아름답지 않으며 아이러니한 치료법은

00:30:54 [W] 유전 질환이 있는 사람이 실수를 수정하면 RNA를 사용하여 세포가 근본 원인을 제거하는 데 필요한 단백질을 생성할 수 있습니다.

00:31:08 [W] 질환.

00:31:11 [W] 여기에서 진행하면 됩니다.

00:31:12 [W] 따라서 이 슬라이드는 현재 CEO가 2012년에 설립한 우리 회사 ProQR의 이야기를 보여줍니다.

00:31:23 [W] 몇 년 전 다니엘 드 보어. 다니엘과 그의 가족은 갓 태어난 아들의 낭포성 섬유증 진단에 직면했습니다.

00:31:34 [W] 이것은 드문 일입니다. 불치의 유전병 다니엘.

00:31:40 [W] 약물 개발 분야의 전문가들의 도움을 받아 그의 아들과 같은 사람들을 돕기 위해 ProQR을 결성했습니다.

00:31:49 [W] 낭포성 섬유증에서 실행 가능한 치료법이 나왔을 때 Daniel은 다른 명확한 영역을 살펴보았습니다.

00:31:57 [W] 충족되지 않은 수요가 높습니다.

00:32:02 [W] 이 회사의 반영 지점에서. 우리는 임상 작업을 시작했고 Leber 선천적 흑암증 유형, 10 또는 Ica10을 시작했기 때문에 자연스러운 변화가 있었습니다.

00:32:17 [W] 시간 ProQR이 변경되었습니다.

00:32:19 [W] 유전적 안과 질환에 중점을 둡니다.

00:32:25 [W] 2017년부터 우리는 ProQR 집중을 보았고 임상 연구를 진행했습니다.

00:32:32 [W] 관련된 연구입니다.

00:32:36 [W] Usher 증후군 유형의 Ica10을 가지고 살고 있는 개인을 상염색체 우성 망막염에 초대합니다.

00:32:45 [W] Pigmentosa, 가장 최근에는 Fuchs 내피 각막 이영양증.

00:32:54 [W] 작년 1월 현재, 우리는 Ica10에 2, 3단계 중추 연구를 완전히 등록했으며 이는 우리를 새로운 시대로 이끄는 회사입니다.

00:33:09 [W] 규제 기관, FDA, Ema 및 유럽에서 방출하기 위해 영국에서 치료를 등록하기 위해

00:33:20 [W] 너 22.

00:33:18 [W] Krista가 말했듯이 지금은 커뮤니티와 우리 회사 모두에게 매우 흥미로운 시간입니다.

00:33:35 [W] 현재 전 세계적으로 500만 명의 사람들이 유전적 안구 질환을 안고 살고 있는 것으로 추산되지만, 아마도 유전 검사에 대한 인식 부족으로 인해 더 많을 것입니다.

00:33:50 [W] 그리고 이 사람들의 대다수를 위한 대중 지식.

00:33:56 [W] 시력 상실 및 발생할 수 있는 궁극적인 실명에 대한 치료법은 없습니다.

00:34:06 [W] 우리는 이 사명을 완수하는 가장 좋은 방법이 유전적 안구 질환에 대한 RNA 치료법을 개발하는 것이라고 믿습니다.

00:34:14 [W] 우리는 질병의 근본 원인을 해결하고 시력을 개선하기 위해 고도로 표적화된 치료법을 개발하기 위한 플랫폼을 구축했습니다.

00:34:28 [W] 그리고 300개 이상의 유전자로 유전적 안구 질환을 유발하는 것으로 확인되었습니다.

00:34:35 [W] 예를 들어 Ica10은 질병을 앓고 있는 사람들을 위한 치료법을 개발할 수 있는 엄청난 기회가 있습니다. 그것은 실수를 일으키는 돌연변이입니다.

00:34:50 [W] 어떤 돌연변이와 필수 단백질로 인해 I가 기능을 하지 못하거나 결핍되어 빛의 열화를 초래하여 세포를 감지

00:35:04 [W] 망막에서 세포를 감지하는 것과 같습니다.

00:35:14 [W] 따라서 RNA Therapeutics 분야에서 ProQR은 유전적 안구 질환을 가진 사람들을 위한 표적 치료법을 제공하는 최전선에 있으며, 우리의 RNA 치료법, 사용,

00:35:30 [W] 나는 RNA 요법을 착용하고, 개인의 상태에서 질병의 근본 원인을 교정하고 질병을 멈추도록 특별히 설계된 안티센스 올라고 뉴클레오티드를 사용합니다.

00:35:46 [W] 또는 심지어 증상을 역전시키기 위해.

00:35:49 [W] 그래서 이것들은, 그 모든 안티센스는 옛날부터 뉴클레오타이드였습니다. 그것들은 합성 RNA의 짧은 스트레치로 구성되어 있으며, 증가하도록 화학적으로 변형됩니다.

00:36:05 [W] 그리고 세포로의 흡수.

00:36:09 [W] 이 기술은 유전 질환을 치료하기 위해 확립된 접근 방식이며 승인되었습니다.

00:36:17 [W] 오늘날 환자를 치료하는 데 사용되는 RNA 요법.

00:36:23 [W] 그렇다면 치료는 어떻게 전달해야 할까요?

00:36:28 [W] 약이 작동하려면. 첫째, 몸에 들어가야 합니다.

00:36:34 [W] RNA 요법이 가장 효과적입니다. 망막질환의 경우 환부에 직접 전달하면 유리체에 어떤 치료법도 주입할 수 있나요?

00:36:49 [W] 젤리 같은 액체로 채워진 구멍이 이 전달 방법입니다.

00:36:55 [W] 그것은 내향적 백혈구, 주사 또는 IV T로 알려져 있으며 안과 질환에 대해 가장 많이 수행되는 절차 중 하나입니다.

00:37:06 [W] 이 절차는 당뇨병성 망막병증에 대한 연령 관련 황반 변성 및 망막 정맥 폐쇄와 같은 일반적인 상태에 대해 의사가 수행합니다.

00:37:23 [W] 따라서 IV T는 망막하 주사와 다릅니다. 섬세한 망막 수술이 필요한 유전자 치료에 사용되는 방법.

00:37:41 [W] 면접 절차는 어떻게 되나요?

00:37:44 [W] 트레일 인젝션?

00:37:45 [W] 전체 절차는 약 10~15분 정도 소요되며 병원에서 바로 시행한다고?

00:37:52 [W] 환자가 의자에 앉아 있는 동안?

00:37:57 [W] 눈이 마비되어 아프지 않습니다.

00:38:01 [W] 일단 눈이 준비됩니다.

00:38:03 [W] 개인은 특정 방향을 보도록 요청받을 것입니다.

00:38:07 [W] 약을 아주 가는 바늘로 눈의 흰자위 부분에 주사하는 동안.

00:38:19 [W] 그렇다면 어떻게 RNA 분자를 테스트할 수 있습니까? 우리의 혁신? 팀은 항상 새로운 기술을 찾고 있습니다.

00:38:29 [W] 우리는 개인의 작은 피부 생검을 사용하여 살아있는 광학 컵 모델을 만들어 의약품을 테스트하고 Target 참여 여부를 확인합니다.

00:38:41 [W] 누군가의 눈에 주사하기 전에도.

00:38:47 [W] 아이러니하게도. 웹 세미나에서 그래픽을 볼 수 없는 사람들을 위한 DNA의 차이점은 무엇입니까?

00:38:57 [W] 밑에서 설명하겠습니다.

00:39:01 [W] 내가 상상하는 것처럼 우리는 DNA 이중 나선을 가지고 있습니다. 우리 대부분은 DNA 위에서 이것을 잘 알고 있습니다.

00:39:09 [W] 우리는 단일 가닥 RNA를 가지고 있습니다. 앞서 언급했듯이. 이 RNA는 번역에 사용됩니다.

00:39:17 [W] 세포에서 단백질이 생성되는 과정. RNA 자체는 전사라는 과정을 통해 DNA에서 생성됩니다.

00:39:35 [W] 유전자 치료.

00:39:36 [W] 일반적으로 DNA 유전자 치료를 영구적으로 변경하고 질병을 유발하는 유전자에 직접 작용하며 벡터가 필요합니다.

00:39:51 [W] 표적 세포. 유전자 편집은 직접 변경됩니다.

00:39:53 [W] DNA.

00:39:58 [W] 대조적으로, RNA 요법은 RNA 수준에서 작동합니다.

00:40:05 [W] 모두 일시적인 효과가 있으며 게놈을 변경하지 않습니다.

00:40:12 [W] 따라서 안티센스 이전에는 뉴클레오티드가 표적 세포에 접근하기 위해 벡터가 필요하지 않았습니까?

00:40:19 [W] 2편을 더 보도록 하겠습니다. 이것은 나중에 더.

00:40:29 [W] 그래서, 제가 당신이 가장 관심을 가질 것이라고 생각하는 부분에 도달하기 위해 제가 인내심을 갖고 기다려 주셔서 감사합니다.

00:40:37 [W] 매개성 색소성 망막염 및 어서 증후군에 대한 우리의 지속적인 연구.

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

00:40:50 [W] 그것이 치료의 이름입니다.

00:40:52 [W] 수사입니다.

00:40:56 [W] 시력 상실을 막기 위해 Exon 13과 RNA를 건너 뛰도록 설계된 RNA 요법.

00:41:05 [W] 이것은 Exon 13에 매우 구체적입니다.

00:41:11 [W] 이것이 바로 유전학입니다.

00:41:13 [W] 우리 프로그램을 재정적으로 지원해 준 실명과 싸우는 재단의 파트너들에게 감사를 전하고 싶습니다.

00:41:25 [W] 그래서 어슈어 증후군과 진행 상황에 대해 조금

00:41:32 [W] 우리는 과학에 대해 이야기했습니다. 그리고 이제 3월의 가장 최근 소식에 대해 말씀드리고자 합니다. 작년.

00:41:41 [W] 우리는 어서 증후군 및 망막염 프로그램의 긍정적인 결과가 명시된 모든 목표를 달성한 스텔라라고 하는 임상 연구임을 발표하게 된 것을 기쁘게 생각합니다.

00:41:56 [W] 이것은 우리의 진행중인 연구인 RNA 요법에서 중요한 이정표를 표시합니다.

00:42:07 [W] Qr-421a 기억에 남는 이름입니다.

00:42:09 [W] 나는 그것이 아치의 특정 부분에 Exon 13이라는 유전자에 돌연변이가 있는 사람들의 시력 상실을 막는 것으로 보인다는 것을 알고 있습니다.

00:42:25 [W] Qr-421a는 돌연변이된 섹션에 결합하여 작동하며 RNA에서 Exon 13을 제외합니다.

00:42:36 [W] 핑.

00:42:38 [W] 그러면 망막의 세포가 단백질로 약간 더 짧지만 기능적으로 돌진할 수 있습니다. 임상 시험 스텔라는 이것이 비전을 멈추거나 되돌릴 수 있는지 알아보기 위한 것이었습니다.

00:42:53 [W] 확실한 증후군.

00:43:02 [W] 그래서 이것은 임상 시험 디자인의 이미지입니다. 임상 개발의 여러 단계는 모두 데이터와 통찰력을 수집하는 것입니다.

00:43:17 [W] 이 디자인이 2년의 추적 기간을 가진 20명의 임상 시험 참가자에게 테스트된 3가지 다른 용량으로 구성되었다는 점은 주목할 가치가 있습니다.

00:43:34 [W] 참가자들은 무작위로 한쪽 눈에 QR-421a 또는 Sean을 투여하고 다른 쪽 눈은 남겨두었습니다.

00:43:48 [W] 대조군으로 취급되지 않음.

00:43:52 [W] 그 샷을 위해. 참가자를 무작위로 선정하여 더미 내향적인 실제 주사를 맞았습니다.

00:44:02 [W] 그래서 눈의 침투가 없었습니다.

00:44:06 [W] 그리고 삼. 팔은 마스킹 목적으로만 사용됩니다.

00:44:13 [W] 그래서 마스크이런 무엇을 의미합니까?

00:44:16 [W] 숨기는 방법입니다.

00:44:19 [W] 환자가 편견을 줄이기 위해 어떤 치료를 받았습니까?

00:44:28 [W] 참가자와 소수의 참가자 전문가 사이의 질병 진행 이익률이 다르기 때문입니다. 최선의 통제는 치료를 받지 않는 것이라고 믿으며,

00:44:43 [W] 저도 같은 재판을 받고 있습니다, 참가자.

00:44:47 [W] 따라서 이 단일 용량 연구의 목표는 등록 목적으로 식별하는 것이었습니다. 발병에 따른 투여 간격은 무엇입니까?

00:44:58 [W] 임상 개발의 다음 단계에 대한 지속성 및 효과의 약화 및 대상 인구는?

00:45:11 [W] 그리고 긍정적인 소식은 연구가 명시된 모든 목표를 달성했다는 것입니다.

00:45:19 [W] 우리는 또한 일찍 두 집단을 발견했습니다. 중등도의 질병 진행 및 진행성 질병 진행. 이것은 중요하며 나중에 다루겠습니다.

00:45:37 [W] 이번 스텔라 재판에서 본 내용을 요약하면 다음과 같습니다. 여부를 확인하기 위한 1상 2상 임상시험이었다.

00:45:53 [W] 임상시험을 위해 QR-421a 분자인지 여부는 안전하고 시력에 영향을 미칩니다.

00:46:04 [W] 이 약은 심각한 문제 없이 안전하고 내약성이 좋은 것으로 관찰되었습니다.

00:46:10 [W] 보고된 이상반응.

00:46:14 [W] 가장 잘 교정된 시력에 대한 임상 개념 증명이 확립되었습니다.

00:46:24 [W] 그것은 bcva 또는 당신이 그것을 알고 있습니다. 레티놀, 감도를 측정하는 데 사용되는 정적 시야 측정에 대한 아이 차트로도 사용됩니다.

00:46:36 [W] 그리고 이는 다음과 같은 중요한 2차 종료점에 의해 지원되었습니다.

00:46:43 [W] OCT Imaging은 망막, 두께 및 미세주변을 관찰합니다.

00:46:53 [W] 또한 적절한 등록을 포함하여 프로그램을 발전시키기 위한 핵심 정보를 수집하고 문을 가리킵니다.

00:47:05 [W] 다음 시험을 위해 사용할 투여 간격과 최적의 연구 모집단이 확인되었습니다.

00:47:15 [W] 그래서 저는 우리가 시작이라는 도전을 스스로 설정했다고 말할 수 있어서 기쁩니다.

00:47:22 [W] 작년 말까지 핵심 연구.

00:47:28 [W] 하나는 초기에서 중등도의 환자 집단에 있었고 다른 하나는 진행성 질병 그룹에 있었습니다.

00:47:39 [W] 그래서 우리는 연말까지 시작하는 것이 힘든 도전을 겪었고, 12월에 첫 번째 환자들이 이제 약물을 투여받았다고 말할 수 있게 되어 매우 기쁩니다.

00:47:54 [W] 우리는 Stellar 연구에서 치료를 받은 모든 환자에서 이점을 보았습니다.

00:48:00 [W] 여기에는 고급 및 중등도 시력 상실을 모두 가진 시험 참가자가 포함되었습니다.

00:48:09 [W] 그리고 두 그룹 간의 이러한 정의는 다음 연구 단계에서 중요할 것입니다.

00:48:18 [W] 우리 웹사이트에 전체 블로그와 커뮤니티 브리핑이 있습니다.

00:48:23 [W] 사람들이 더 많은 것을 읽고 싶다면.

00:48:31 [W] 없음, Krista는 많은 사람들이 위험과 안전에 대해 알고 싶어한다고 말했습니다.

00:48:39 [W] 이것은 임상 연구의 중요한 부분입니다.

00:48:42 [W] 많은 사람들이 위험과 안전에 대해 알고 싶어한다고 말했습니다.

00:48:48 [W] 이것은 임상 연구의 중요한 부분입니다.

00:48:52 [W] 이러한 종류의 연구를 수행하는 데는 항상 위험이 있다는 점에 유의할 가치가 있으며, 안전 측면을 살펴봄으로써 이러한 임상 시험을 수행하는 방법을 보여줄 수 있기를 바랍니다.

00:49:09 [W] 우리는 이러한 임상 시험을 가능한 한 안전하게 만듭니다.

00:49:12 [W] 우리는 안전을 매우 중요하게 생각하며 계속해서 규제 당국 및 윤리 위원회와 협력하여 참가자가 연구 기간 동안 보살핌을 받을 수 있도록 합니다.

00:50:14 [W] 죄송합니다.

00:50:15 [W] 순간 연결이 끊긴 것 같아요.

00:50:17 [W] 예.

00:50:20 [W] 알겠습니다. 잠시만요.

00:50:34 [W] 안전성은 이 임상 시험의 큰 부분이었고, 연구의 1차 목적은 안전성에 초점을 맞추었습니다.

00:50:46 [W] Qr-421a는 3700명이 넘는 참가자가 추적 관찰한 결과 안전하고 잘 견디는 것으로 관찰되었습니다.

00:50:56 [W] 이는 이 연구에서 수년 간의 추적 조사에 해당합니다.

00:51:02 [W] 중요한 것은 아닙니다. 심각합니다. 부작용이 기록되었고 염증 사례는 없었습니다.

00:51:11 [W] 그러나 한 환자는 기존의 백내장을 악화시키기 위해 열심히 노력하고 있습니다. 두 눈에. 둘 다 치료와 관련이 없는 것으로 간주되며 백내장은 일부로 발생하는 것으로 알려져 있습니다.

00:51:27 [W] 양쪽 눈의 기존 백내장.

00:51:30 [W] 둘 다 치료와 관련이 없는 것으로 간주되며, 백내장은 어서 증후군의 배경의 일부로 발생하는 것으로 알려져 있으며 환자의 30% 이상에서 발생합니다.

00:51:47 [W] 연구에서 새로운 백내장은 보고되지 않았습니다.

00:51:54 [W] 낭포성 황반, 부종 또는 c 및 e는 종종 망막염과 관련이 있습니다. 피그멘토사이며 30% 이상에서 질병의 자연사의 일부입니다.

00:52:09 [W] 질병의 A와 환자의 30% 이상.

00:52:14 [W] 일반적으로 국소 안약으로 적절하게 관리됩니다.

00:52:21 [W] 아니요, 연구 기간 동안 CME의 새로운 사례가 발생했습니다.

00:52:26 [W] 그러나 이미 CME를 갖고 있던 한 환자가 200마이크로그램 용량을 투여받은 그룹에 등록되었고, CME는 연구 동안 진행되었지만,

00:52:41 [W] 표준 치료 요법으로 관리되지 않는 사람에게 미소를 짓습니다.

00:52:46 [W] 따라서 우리는 QR-421a가 이 연구에서 안전하고 잘 견디는 프로필을 보여주게 된 것을 기쁘게 생각합니다.

00:53:21 [W] 그러나 성공적인 임상 시험은 무엇을 의미합니까?

00:53:26 [W] 안전 프로필 외에.

00:53:27 [W] 우리는 또한 가장 잘 교정된 시력을 보았고 우리가 본 것은 치료받은 모든 눈에서 안정화였습니다.

00:53:39 [W] 지금. 이것은 주목할 가치가 있습니다.

00:53:42 [W] 11회 주사였다.

00:53:47 [W] 치료된 환자에서 시력의 안정화가 관찰되었습니다. I 대 치료를 받지 않은 경우 감소합니다.

00:53:55 [W] 나는 모든 환자에서.

00:53:57 [W] 그래서 우리는 자연사에 따라 치료되지 않은 I의 악화를 보았습니다.

00:54:05 [W] 각각의 눈 차트에는 6글자의 혜택이 있었습니다.

00:54:10 [W] 그리고 그것은 72주차였습니다. QR-421a의 긴 반감기와 일치하는 지속적인 효과를 보여주는 8자 혜택이었습니다.

00:54:28 [W] 치료를 받은 모든 참가자는 광범위한 시력 상실 또는 시력을 가지고 있었습니다.

00:54:36 [W] 따라서 이와 같은 안정화를 보는 것은 보기 좋았지만 우리는 더 많은 것을 배웠습니다.

00:54:46 [W] BC, A bcva 반응의 변화는 진행된 질병 인구에 의해 주도됩니다.

00:54:57 [W] 자, 이것이 왜 중요한가요?

00:54:58 [W] 우리는 임상 개발의 다음 단계에서 무엇을 할 수 있는지 배우기 시작했습니다.

00:55:06 [W] 이제 우리는 단일 투여 후 치료된 눈에서 안정화를 보았습니다.

00:55:14 [W] 고급 인구에 초점을 맞추고 눈에 대한 혜택. 차트는 9.3 글자의 평균 변화였습니다.

00:55:25 [W] 내 말은 72주차에 13개의 글자 차이가 있음을 의미합니다. 따라서 72주차 종점은 3단계에서 1차 종점을 살펴볼 시간입니다.

00:55:40 [W] 고급 인구의 Mi, Sirius라는 연구.

00:55:48 [W] 그래서 우리는 규제 기관에 제안할 종점을 식별했습니다. 규제 기관은 제품 승인을 위해 신약을 고려할 수 있습니다.

00:56:02 [W] 이들은 고급 인구와 초기 중등도 인구를 위한 bcva입니다.

00:56:11 [W] 우리는 대신 정적 경계를 찾고 있습니다.

00:56:17 [W] 참가자들이 기준 질병 단계와 관련된 종료점 또는 측정값에 응답하는 것을 보았습니다.

00:56:24 [W] 그리고 우리는 또한 서로 다른 끝점이 서로 일치하게 움직이는 것을 보았습니다.

00:56:34 [W] 그래서 이번 스텔라 시험에서 우리는 모든 정보를 수집했습니다.

00:56:37 [W] 우리는 중추적인 단계로 나아가 이 약을 환자에게 등록하는 데 더 가까이 다가가야 합니다.

00:56:54 [W] 그래서 이 슬라이드에서는 Sirius를 위한 연구 설계를 보여주었습니다.

00:56:58 [W] 이것은 진행된 환자에서 발생합니다.

00:57:01 [W] 2, 3상 시험을 위한 프로토콜에 제출된 방출된 경우,

00:57:10 [W] FDA는 우리가 제안한 6개월 투여 간격에 동의했고 안전성 프로파일을 감안할 때 이를 확인했습니다. 더 이상 용량 범위를 지정할 필요가 없습니다.

00:57:26 [W] 따라서 Sirius라는 이름의 이 첫 번째 시험은 고급 인구에 초점을 맞추고 bcva를 기본 끝점으로 사용합니다.

00:57:37 [W] 잠시 후 보여드릴 두 번째 시도는 비슷하지만 초기에서 중등도의 인구에 해당하며 정적 시야 측정을 다음과 같이 사용합니다.

00:57:53 [W] 그리고 정적 경계를 기본 끝점으로 사용합니다.

00:57:59 [W] 이 두 집단은 다른 특성을 가지고 있었습니다.

00:58:04 [W] 그래서 우리는 그것을 구조화하기로 결정했습니다. 등록을 위해 목표에 대한 두 가지 기회를 제공하는 두 개의 병렬 연구로.

00:58:15 [W] 그래서 진지한 연구는 진행성 질병을 가진 사람들만이 이 끝점에 반응할 수 있다는 것을 알고 있기 때문에 bcva의 황금 표준을 사용하고 있습니다.

00:58:30 [W] 기준선에서 약간의 시력 상실을 보이는 환자만 포함됩니다.

00:58:40 [W] 이 연구의 환자는 시력이 20/40 또는 그 이상으로 모든 것을 읽을 수 있지만 아이 차트의 가장 작은 선 임상 시험 참가자

00:58:56 [W] 팔은 QR-421a의 두 가지 다른 용량 중 하나를 받게 됩니다. 6개월마다 여기에서 1차 종료점은 bcva이고 다음에서 관찰된 효과 크기가 주어집니다.

00:59:10 [W] 그리고 우리는 18개월의 후속 조치 후에 종점을 평가할 것으로 예상합니다.

00:59:16 [W] 목표는 QR-421a 처리된 눈에서 bcva를 안정화하는 것입니다. 컨트롤 암이 성능이 저하되고

00:59:31 [W] 질병.

00:59:34 [W] bcva는 안과, 약물 개발의 황금 표준입니다. bcva에 대한 긍정적인 이점 위험 판독값은 QR-421a를 지원합니다.

00:59:49 [W] Exon 13 돌연변이에 대한 우리 환자의 경우.

00:59:58 [W] 따라서 병렬로 이것은 매우 유사하게 보일 것입니다. 그러나 이것은 초기에서 중등도의 환자를 대상으로 한 Celest 연구입니다.

01:00:08 [W] 그리고 여기에서 1차 종료점은 12개월 20분 지점에서 측정한 정적 시야 측정입니다.

01:00:18 [W] 주요 2차 평가변수 중 하나는 이동성 과정이 될 것이며 아마도 OCT도 될 것입니다.

01:00:27 [W] 망막 두께를 관찰한 공간섭 단층촬영기입니다.

01:00:35 [W] 여기서 목표는 Stellar 시험의 규제 승인 임계값 데이터에 따라 정적 시야 측정의 개선을 볼 수 있을 것입니다.

01:00:47 [W] 따라서 두 연구 모두 반복 투여 후 1차 판독을 계획하고 있지만 시기를 조정하거나 중간 분석을 추가하는 것을 고려할 수 있습니다.

01:01:01 [W] 일단 우리는 라인을 가지고, 이러한 계획.

01:01:03 [W] 레귤레이터와 함께.

01:01:08 [W] 이제 흥미로운 사실을 알게 되었습니다.

01:01:13 [W] 우리 분자의 이름으로.

01:01:16 [W] 알려드리게 되어 기쁩니다.

01:01:18 [W] 조금 독점적입니다.

01:01:20 [W] 세계보건기구(WHO)가 울테부르센을 승인했다는 최근 소식입니다.

01:01:30 [W] 이것이 이 분자의 이름으로 verserson의 전부입니다. 무슨 일이

01:01:43 [W] 우리는 이 국제 비독점 우선 소유권 이름에 대한 제안을 제공하고 승인을 제공합니다.

01:01:58 [W] 이 마일스톤을 알려드리게 되어 정말 기쁩니다.

01:01:59 [W] 실제 제품이 되는 데 한 걸음 더 다가가고 있습니다.

01:02:05 [W] 그래서 마지막으로 엄청난 말을 하고 싶습니다.

01:02:09 [W] ProQR을 초대해 주신 Krista와 Nancy의 연합과 유전체 과학의 여정에 귀를 기울이고 함께 해주신 모든 분들께 감사드립니다.

01:02:25 [W] 나는 당신이 가질 수 있는 어떤 뜨거운 질문에도 기꺼이 답하려고 노력합니다.

01:02:28 [W] 감사합니다.

01:02:37 [W] 정말 감사합니다.

01:02:39 [W] 이것은 크리스타 바시입니다.

01:02:41 [W] 그리고 네, 많은 질문이 있습니다. ProQR의 동료인 Andrew Bolan도 함께 하고 있다는 것을 알고 있습니다.

01:02:53 [W] 따라서 우리는 이러한 질문을 느낄 수 있는 많은 전문 지식을 보유하고 있습니다.

01:02:58 [W] 앤디, 조금만 흔들어.

01:03:00 [W] 그가 있다. 좋아, 그래서

01:03:05 [W] 봅시다.

01:03:06 [W] Andy는 질문이 진행되는 동안 질문을 보고 있었고 그것이 최선일 수도 있다는 것을 알고 있습니다. 당신이 원하는 순서대로 주문을 받는 경우. 네, 절대적으로요.

01:03:18 [W] 안녕하세요, 볼링을 치는 하이드입니다.

01:03:20 [W] 오늘 당신과 함께하는 것이 좋습니다.

01:03:22 [W] 나는 나와 Doreen이 이 질문들을 해결할 수 있다고 생각합니다.

01:03:26 [W] 따라서 많은 질문을 처리하면서 빠른 Q&A를 할 수 있습니다.

01:03:30 [W] 우리는 프레젠테이션에서 대답을 하기를 희망하지만 할 수 있습니다.

01:03:35 [W] 그들을 통해 단계별로. 따라서 Doreen이 있는 첫 번째 사람은 Usher 2A가 있다는 것입니다.

01:03:41 [W] 내 안과 의사는 확인을 위해 유전자 검사를 하지 않을 것입니다. 노스캐롤라이나 서부에 사는 다른 옵션에는 어떤 것이 있습니까?

01:03:48 [W] 글썄, 내가 가져갈게.

01:03:50 [W] 마이크, 사랑스러운.

01:03:53 [W] 정말 감사합니다.

01:03:54 [W] 크리스타입니다. Vazhi, 말하기.

01:03:56 [W] 그리고 네, 많은 질문이 있습니다. ProQR의 동료인 Andrew Bolan도 함께 하고 있다는 것을 알고 있습니다.

01:04:08 [W] 따라서 우리는 이러한 질문을 느낄 수 있는 많은 전문 지식을 보유하고 있습니다.

01:04:14 [W] 앤디, 조금만 흔들어.

01:04:16 [W] 그가 있다. 좋아, 그래서

01:04:21 [W] 봅시다.

01:04:21 [W] Andy는 질문이 진행되는 동안 질문을 보고 있었다는 것을 알고 있으며 선호하는 순서로 주문을 받는 것이 가장 좋습니다.

01:04:33 [W] 네, 절대적으로요. 안녕하세요, 여기에서 볼링을 치고 있는 Abby입니다.

01:04:36 [W] 오늘 당신과 함께 하는 것이 좋습니다.

01:04:38 [W] 나는 나와 Doreen이 이 질문들을 해결할 수 있다고 생각합니다.

01:04:41 [W] 따라서 많은 질문을 처리하면서 빠른 Q&A를 할 수 있습니다.

01:04:45 [W] 우리는 프레젠테이션에서 대답을 하기를 희망하지만 할 수 있습니다.

01:04:50 [W] 그들을 통해 단계별로. 그래서 Doreen이 있는 첫 번째 사람은 Usher 2A가 있다는 것입니다.

01:04:56 [W] 내 안과 의사는 확인을 위해 유전자 검사를 하지 않을 것입니다. 노스캐롤라이나 서부에 사는 다른 옵션에는 어떤 것이 있습니까?

01:05:04 [W] 글썄, 내가 가져갈게.

01:05:05 [W] 마이크, 사랑스러운.

01:05:06 [W] 질문해 주셔서 감사합니다.

01:05:07 [W] 실명과 싸우는 재단은 훌륭한 Open Access 유전자 검사 프로그램을 수행합니다. 그리고 정말로, 당신의 의사가 Dorian으로서 다음 단계를 취하는 데 도움을 주지 않을 것이라는 말을 듣고 약간 충격을 받았습니다.

01:05:20 [W] 당신이 당신의 유전적 유전자를 알아야 한다는 것은 우리가 개발하고 있는 게놈 의학에서 중요한 단계입니다. 그래서 나는 아마도 다른 의사를 찾아 실명과 싸우는 기초를 세우려고 노력할 것입니다.

01:12:59 [W] 실명과 싸우는 액션은 멋진 Open을 합니다. 유전자 검사 프로그램에 액세스하십시오. 그리고 정말로, 나는 Dorian이 제시한 것처럼, 당신의 의사가 내가 다음 단계를 취하는 것을 돕지 않을 것이라는 말을 듣고 약간 충격을 받았습니다.

01:13:12 [W] 게놈 의학의 중요한 단계입니다.

01:13:15 [W] 우리가 개발하고 있다는 것, 당신이 당신의 유전적 유전자를 알아야 한다는 것.

01:13:20 [W] 그래서 아마 다른 의사를 찾아 실명과 싸우는 기초를 세우려고 노력할 것입니다. 무료 유전자 검사.

01:13:30 [W] 다음 질문은 도린입니다.

01:13:34 [W] 임상 시험을 위한 이상적인 후보는 무엇입니까?

01:13:38 [W] 자격 기준에 대해 조금 이야기한 것 같습니다. 하지만 그 외에 추가할 사항이 있습니까?

01:13:44 [W] 안녕하세요 도린입니다.

01:13:46 [W] 네, 중요한 것은 두 분 모두 임상 진단을 받았고 이러한 유형의 우리 Chewie를 확인할 수 있는 일반적인 프로필을 가지고 있다는 것입니다.

01:14:00 [W] 훌륭합니다. 13 돌연변이입니다.

01:14:03 [W] 올테부르센이 표적이기 때문에 이는 절대적으로 중요합니다.

01:14:10 [W] 그 하위 집단을 위해.

01:14:15 [W] 알아야 할 다른 사항은 나이입니다.

01:14:19 [W] 우리는 커뮤니티의 피드백 덕분에 성인 인구만 조사하기 시작했습니다. 우리는 그것을 줄여야 한다는 것을 빨리 깨달았습니다.

01:14:30 [W] 따라서 이제 12세 이상인 경우 이 평가판을 사용할 수 있습니다.

01:14:40 [W] 대단해.

01:14:40 [W] 감사합니다.

01:14:41 [W] Mark tailed의 다음 질문은 이것이 동물에게 어떤 종류의 테스트를 거쳤는지입니다.

01:14:50 [W] 그리고 후속 조치를 원하시면 웹사이트에 많은 정보가 있습니다. 하지만 우리는 인체 실험에 참여하는 데 필요한 모든 안전 요소를 수행했으며 Stellar는 인체 연구에서 최초였습니다.

01:15:05 [W] 브라이언에서 그 동안, 뭐?

01:15:08 [W] Exon 13 치료의 표적이 된 우리의 비율

01:15:13 [W] 안녕하세요, 도린입니다.

01:15:16 [W] 작은 비율입니다.

01:15:20 [W] 사실이야

01:15:20 [W] 우리는 이 돌연변이로 시작할 수 있기를 희망하지만 향후 약물 개발에서 그렇게 될 것으로 예상합니다.

01:15:31 [W] 우리는 다른 돌연변이를 볼 것입니다.

01:15:33 [W] 백분율의 정확한 수치는 모르지만 우리는 한 번에 조금씩 취하고 있습니다. 우리가 할 수 있는 것을 가져옵니다.

01:15:43 [W] 그녀는 환자와 나는 그것에 추가할 것입니다. exon 30의 특정 기술은 Andrew Andy가 말하는 특정 또는 Krista입니다.

01:15:54 [W] 들어오시겠습니까?

01:15:55 [W] 통역사를 돌려받았습니까?

01:15:57 [W] 뒤? 아니요. 아, 통역사가 발생하지 않습니다. 그러니 1초만.

01:16:03 [W] 죄송합니다.

01:16:05 [W] 이제 디나가 돌아왔습니다, 멜리사.

01:16:08 [W] 이게 뭔지 아세요?

01:16:10 [W] 이다? 멜리사가 말하는 것 같아요. 괜찮아.

01:16:12 [W] 좋은.

01:16:14 [W] 자, 여기에서 말하는 샌디는 아주 잘 설명되어 있습니다. 알다시피, Exon 13의 특이성을 건너뛰는 것은 우리가 단백질에서 기능하는 Usher를 만들려고 한다는 것입니다. 그리고 만약

01:16:29 [W] 약 13개의 12개와 14개가 함께 모여 단백질로 작지만 기능하는 Usher Usher를 만들 수 있으며 이것이 임상 개발에서 효과가 있는지 확인하려는 것입니다.

01:16:41 [W] 다음 질문, 도린.

01:16:46 [W] 다가오는 임상 시험이 2년이 걸릴 것이라고 말했습니까?

01:16:53 [W] 우리도 이미 2년을 보냈습니다.

01:16:56 [W] 나 도리안 말하기.

01:16:58 [W] 그래서 첫 번째 임상 시험에서 2년 동안 환자를 추적했습니다.

01:17:04 [W] 연령. 이제 막 시작된 2단계, 3단계 시험이 올바르게 들렸습니다. 우리는 최소 2년 동안 환자를 다시 추적할 것입니다.

01:17:18 [W] 또한 아직 언급하지 않았습니다.

01:17:20 [W] 확장 연구를 통해 Open Access를 제공하고 있습니다.

01:17:26 [W] 1차 시험에서 이미 치료를 받은 환자들이 치료가 일반화될 때까지 계속 치료를 받을 수 있도록 하기 위함입니다.

01:17:40 [W] 감사합니다.

01:17:41 [W] 여기에서 말하는 것뿐입니다. Philly는 그림을 전달합니다.

01:17:46 [W] 3개의 PDF, ProQR은 48주의 끝에 Stellar 연구의 결과와 함께 발표되었으며, 치료를 받지 않은 사람들을 위한 혜택입니다.

01:17:54 [W] 나는 치료보다 더 높았다.

01:17:55 [W] 나는 어떻게 이럴 수 있습니까?

01:17:56 [W] 나는 그것에 찌를 수 있습니다. 그래서 우리는 약이 시간이 지나면 닳아 없어지는 것을 보았고 우리가 개발한 RNA 약이 영구적이지 않다는 것을 실제로 보여주었기 때문에 우리의 개발에서 이해해야 하는 중요한 부분이었습니다.

01:18:04 [W] 그것은 당신의 DNA를 바꾸는 것이 아닙니다.

01:18:06 [W] 그래서 당신은 그것을 계속해서 가지고 있어야 하고 그것이 중요한 정보 중 하나입니다. 우리는 3단계 연구 시리우스와 셀레스트를 위해 모였습니다.

01:18:18 [W] 다음 질문은 아래로 가십시오.

01:18:25 [W] 이 몇 가지 외에.

01:18:26 [W] 만 의미가 무엇입니까?

01:18:30 [W] 이것은 모니카에게서 온 것입니다.

01:18:31 [W] 고마워요, 모니카. 시력에 문제가 없고 광민감성과 터널시야가 있는 Usher 환자에 대해 bcva만 측정하는 것이 의미하는 바는 무엇입니까?

01:18:42 [W] 에서 무엇을? 이해 했어요. 중심 시력 이전의 pfx 주변 시력. 약은 중심 시력 상실을 안정화시키는 데에만 효과가 있습니까?

01:18:51 [W] 찌를 수 있습니다.

01:18:53 [W] 오 도린.

01:18:53 [W] 가시겠습니까?

01:18:56 [W] 나는 말하는 동안.

01:18:57 [W] 그래서 우리는 주변 시력의 감소를 보기 시작한 초기 단계의 질병이 있는 환자를 찾고 있습니다.

01:19:07 [W] 우리는 시력에 영향을 미치기 시작할 수 있도록 점점 더 좁아질 것입니다.

01:19:12 [W] 따라서 문제는 동일한 문제이기 때문에 제품은 두 모집단 모두에 대해 작동해야 합니다.

01:19:24 [W] 우리는 광수용체가 작동하는 데 필요한 단백질의 안내자를 대체하여 수리하고 있습니다.

01:19:32 [W] 환자들이 질병의 다른 단계에 있기 때문에 우리는 다른 매개변수를 측정하고 있습니다.

01:19:38 [W] 주요 매개변수인 1차 종점을 언급했다고 덧붙이겠습니다. 그러나 2차 종점의 전체 범위를 측정하여 무슨 일이 일어나고 있는지 알아낼 것입니다.

01:19:55 [W] 감사합니다.

01:19:56 [W] Doreen은 여기에서 Andy가 말하고 있습니다. 다음 질문. 하지만 그 전에 몇 가지 질문이 들어왔습니다.

01:20:03 [W] 사람들은 어떻게 임상 시험에 등록합니까? 그리고 우리는 매우 흥분하고 있으며 임상 개발이 다른 지역에서 서로 다른 시간을 소요하는 데 많은 열정을 가지고 있습니다.

01:20:13 [W] 우리는 미국에서 전 세계에 사이트를 가질 계획입니다.

01:20:18 [W] 우리는 캐나다 브라질과 유럽의 많은 국가에서도 희망합니다.

01:20:24 [W] 그러나 국가마다 임상 현장을 여는 일정이 매우 다릅니다.

01:20:30 [W] 우리는 각각의 현장 위치에서 수행할 다른 윤리적 작업이 있습니다.

01:20:36 [W] 언제 가입할 수 있는지, 언제 가입할 수 있는지 묻는 전 세계 사용자는 가능한 한 빨리 ProQR의 팀이 되기를 바랍니다. 우리는 가능한 한 빨리, 열심히 일하고 있는 작은 팀과 작은 생명 공학입니다.

01:20:51 [W] 이러한 임상 시험 센터를 열기 위해 가능한 한 열심히 그리고 빠르게 노력하고 있지만 점점 더 많은 정보가 당사 웹사이트 www.proqr.com에 오는 것을 보게 될 것입니다.

01:21:05 [W] 닷컴과 업데이트된 정보가 있을 것입니다.

01:21:08 [W] 새로운 사이트가 열릴 때마다.

01:21:10 [W] 죄송합니다. 도린과 22.

01:21:14 [W] 꽤 많으니 가져가세요.

01:21:15 [W] 이 중 몇 가지를 살펴보겠습니다.

01:21:21 [W] 좋아요, 이것은 꽤 좋은 것입니다. 이 시간 동안 제가 대답할 수 있습니다. 다윗에게서 왔습니다.

01:21:27 [W] 나는 당신에게 유전자를 물었다. 저는 이 때 더 영향을 받습니다. 내 질병의 일부로 RP와 함께.

01:21:32 [W] 의사는 13에 X가 없다고 합니다.

01:21:34 [W] 나 자신에게 우수한 13인지 어떻게 알 수 있습니까?

01:21:37 [W] 내 유전자 결과.

01:21:38 [W] 감사합니다.

01:21:38 [W] 데이비드, 환상적인 질문입니다.

01:21:40 [W] 나는 할 것이고 우리는 ProQR이 항상 임상 연구에 대해 의사와 이야기하도록 요청할 것입니다.

01:21:46 [W] 의사와 Doreen 개요가 아닙니다. 그녀는 마일리지 없습니다. 그래서

01:21:51 [W] 의학적 조언을 할 수 없습니다.

01:21:52 [W] 그러나 토론을 계속하십시오. 의사가 13에서 X가 누락되었다고 말했다면 이는 중요한 정보입니다.

01:22:00 [W] 그리고 솔직히 말하면 임상 테스트를 읽기가 쉽지 않습니다. 그래서 저는 항상 유전 상담을 받을 수 있고 가능하다면 다른 의사들과 정말

01:22:16 [W] 아직 아님. 유감스럽게도 오늘은 직접 의학적 조언을 드릴 수 없습니다.

01:22:20 [W] 좋아, 한 번 보자.

01:22:23 [W] Brendan Brendan의 Doreen 하나. 시력 상실이나 어둠 속에서 볼 수 있는 능력의 반전을 본 적이 있습니까?

01:22:38 [W] 그래서 말하는 동안, 우리는 안정화를 보았습니다.

01:22:43 [W] 보는 것이 가장 좋은 방법이라고 생각합니다.

01:22:45 [W] 약간 더 높은 약간 더 낮은 테스트 결과로 테스트를 수행할 때 어느 정도의 가변성이 있습니다.

01:22:56 [W] 그래서 우리는 재판에서 항상 조심스럽게 요구합니다. 예를 들어, bcva는 여러 번 반복되어

01:23:07 [W] 대표 값을 취하십시오.

01:23:10 [W] 그래서, 나는 지금까지 그렇게 말할 것입니다. 우리는 한 번의 주사로 안정화를 보고 있습니다.

01:23:18 [W] 우리가 모르는 것은 여러 번 주사하면 어떤 일이 일어날지입니다.

01:23:23 [W] 그래서 이것은 우리가 그것에 대해 정말 흥분되는 부분입니다.

01:23:30 [W] 여기서 말하는 것. 다음 질문.

01:23:36 [W] 바라보다.

01:23:38 [W] 우리는 이것에 대해 꽤 많이 대답했습니다.

01:23:40 [W] Brendan Brendan의 당신을 위한 동안. 시력 상실이나 어둠 속에서 볼 수 있는 능력의 반전을 본 적이 있습니까?

01:23:46 [W] 그래서 말하는 동안, 우리는 안정화를 보았고, 그것을 보는 가장 좋은 방법이라고 생각합니다.

01:23:54 [W] 약간 더 높은 약간 더 낮은 테스트 결과로 테스트를 수행할 때 어느 정도의 가변성이 있습니다.

01:24:05 [W] 그래서 우리는 재판에서 항상 조심스럽게 요구합니다. 예를 들어, bcva는 여러 번 반복되어

01:24:16 [W] 대표 값을 취하십시오.

01:24:18 [W] 그래서, 나는 지금까지 그렇게 말할 것입니다. 우리는 한 번의 주사로 안정화를 보고 있습니다.

01:24:27 [W] 우리가 모르는 것은 여러 번 주사하면 어떤 일이 일어날지입니다.

01:24:31 [W] 그래서 이것은 우리가 그것에 대해 정말 흥분되는 것입니다. 여기서 말하는 샌디.

01:24:40 [W] 다음 질문.

01:24:44 [W] 바라보다.

01:24:47 [W] 우리는 이것에 대해 꽤 많이 대답했습니다.

01:24:50 [W] 아, 이제 이것은 이 치료가 배제된 좋은 것입니다.

01:24:55 [W] 미래에 또 다른 유전자 치료를 받는 것이 문제이기 때문에 나는 그 질문을 시도하고 해결할 수 있습니다. 우리는 많은 것을 얻습니다. 우리는 어서 증후군에서 아직 진행 중인 다른 시험을 보지 못했습니다.

01:25:09 [W] RNA에 매우 유용한 것은 무엇입니까? 그것은 마모되지 않습니다.

01:25:14 [W] 그래서 기술적으로 또는 가설적으로 미래의 DNA 기반에서 당신을 배제해서는 안 된다고 말해야 합니까?

01:25:20 [W] 제가 생각하는 치료는 질문의 근본적인 부분입니다. 즉, 나는 Ica10에 주의할 점이 있고 Doreen은 데이터에 대한 기대와 함께 우리의 발전에 대해 이야기했습니다.

01:34:51 [W] 민트는 미래에 또 다른 유전자 치료를 받는 것을 막고 그 질문은 질문이기 때문에 시도해 볼 수 있습니다. 우리는 많은 것을 얻습니다.

01:35:00 [W] 우리는 어서 증후군에서 아직 진행 중인 다른 시험을 보지 못했습니다.

01:35:06 [W] RNA에 매우 유용한 것은 무엇입니까? 그것은 마모되지 않습니다.

01:35:12 [W] 기술적으로나 가상으로나 미래의 DNA 기반 치료법에서 당신을 배제해서는 안 된다고 말해야 합니다.

01:35:20 [W] 질문의 거짓말 부분.

01:35:22 [W] 즉, 나는 Ica10에 주의할 점이 있고 Doreen은 우리의 발전에 대해 이야기했으며 우리는 이번 달 말까지 데이터에 대해 거의 기대하고 있습니다.

01:35:34 [W] Ica10에서 바랍니다.

01:35:35 [W] 경쟁자 유전자 또는 DNA 기반이 있으며 시험에서 RNA 요법을 받은 개인을 배제했습니다.

01:35:45 [W] 그래서 정말 회사 대 회사입니다. 가설적으로, 우리의 약은 씻겨 나가거나

01:35:51 [W] 결국 시스템을 떠나므로 미래에 DNA 기반 치료를 받지 못할 이유가 없어야 합니다.

01:35:57 [W] 다소 어려운 질문이기는 하지만 만족스러운 답변이 되었기를 바랍니다.

01:36:08 [W] 이 약도 복용할 수 있도록 약값에 대해 질문합니다.

01:36:13 [W] 그래서 이것은 우리가 받는 일반적인 질문입니다. 나는 당신이 현재 상상할 수 있다고 확신합니다. 울테부르센의 임상 개발은 우리가 치료 비용에 대해 생각하기 시작하기에는 너무 이릅니다.

01:36:25 [W] 이것은 실제로 데이터와 의학이 얼마나 중요한지에 달려 있습니다.

01:36:29 [W] 그럴 수도 있지만 불행히도 우리는 그것에 대해 생각하기 시작하기에는 너무 초기 단계입니다.

01:36:38 [W] 오른쪽.

01:36:48 [W] 한번 봅시다.

01:36:49 [W] 우리는 이러한 질문에 많은 답을 했습니다.

01:36:54 [W] 이봐, Doreen, 아마도 Ricardo에서 온 사람일 것입니다.

01:37:03 [W] 추가하다. 그래서 이것은 우리가 여기에 데이터를 보여주지 않은 것입니다. 당신은 할 수 있습니다. 일반적으로 웹 사이트에서 볼 수 있습니다. 우리는 약간의 안정화를 보았습니다. 그들은 최대, 약 6개월 후

01:37:18 [W] 그리고 또 다른 주사를 맞을 때가 된 것 같았습니다. 그것이 이유의 일부였습니다. 우리는 주사를 맞고 싶었습니다. 유지하기 위해 6개월마다

01:37:31 [W] 무릎을 꿇고 말하는 Andy에게 감사합니다.

01:37:33 [W] 다시 여기.

01:37:34 [W] 버지니아의 다음 질문은 아주 좋은 질문입니다.

01:37:38 [W] 아이오와주는 얼마나 많은 주사를 견딜 수 있습니까? 아니면 평생 동안입니까?

01:37:42 [W] 지금?

01:37:43 [W] 빨리 찌르겠습니다.

01:37:44 [W] 정말 안전 데이터입니다.

01:37:45 [W] 우리는 이것을 매우, 매우 조심스럽게 따르고 실제로 Sirius와 Celeste는 우리가 눈에 여러 차례 주사를 한 것은 처음일 것입니다. 그러나 우리는 실제로 이것에 대한 안전을 연구하고 내가 할 수 있는 방법을 볼 것입니다.

01:37:59 [W] 주사합니다. 도린. 거기에 추가할 사항이 있습니까?

01:38:04 [W] 다른 조건에서는 주사 빈도를 말하는 것만으로 환호.

01:38:12 [W] 따라서 다른 질병에 대해 동일한 기술을 사용하는 것은 매달만큼 자주 사용할 수 있습니다. 아주 잘 확립된 기술입니다.

01:38:23 [W] 우리는 기술을 사용하는 방법을 알고 있는 숙련된 의사에 의해서만 매우 가는 바늘로 적은 양의 주사를 사용하고 있습니다.

01:38:36 [W] 그렇군요, 가능합니다.

01:38:38 [W] 장기 관리를 계속할 생각입니다.

01:38:44 [W] 고마워, 도리안.

01:38:45 [W] 여기 밑에 있어요.

01:38:46 [W] 우리는 왜 exon 13이며 언제 다른 exon이 다음에 나올지에 대한 많은 질문을 받고 있습니다.

01:38:52 [W] 그것은 우리가 받는 매우 표준적인 질문이며 나는 그것에 대해 찢어볼 것입니다.

01:38:56 [W] 저는 Makin University 또는 레티놀 센터에 관한 것입니다.

01:39:00 [W] 이것이 정말 원동력이 되었으며 누구에게나 볼 것을 추천하고 싶은 멋진 웨비나가 있습니다. YouTube 채널에서 exon 13의 역사에 대해 자세히 알아볼 수 있습니다. 제 이해와 과학을 바탕으로

01:39:15 [W] 그것은 정말로 Exon을 건너 뛰게했습니다.

01:39:13 [W] 우리는 그것이 실제로 효과적임을 보았고 과학적 관점에서 건너뛰는 것 자체가 모든 X를 위한 것은 아닙니다. 왜냐하면 궁극적으로 실제로 단백질의 기능적인 안내자를 만드는 것과 관련이 있고 성공을 보았기 때문입니다.

01:39:28 [W] 12시와 14시에 팀과 연결.

01:39:29 [W] 그것이 차이점입니다.

01:39:31 [W] 누구에게나 YouTube 페이지로 이동하여 시청하는 것이 좋습니다.

01:39:33 [W] 매우 상세합니다. 그리고 우리는 Irwin이라는 멋진 친구와 여기 네덜란드의 Radley out University에서 자전거를 얻었습니다. 실제로 Exxon이 건너 뛰는 것을 발견 한 원래 팀의 일부였습니다.

01:39:49 [W] 이 경우 그는 과학에 대한 멋진 설명으로 들어갑니다. 그러니 꼭 확인해주세요.

01:39:58 [W] 도린에게 10분 남았습니다. 그럼 몇 가지 질문을 더 살펴보겠습니다.

01:40:13 [W] Heather가 묻습니다. 이것이 임상 연구의 마지막 단계입니까?

01:40:20 [W] 여기 Doreen, 일반적으로 우리가 설명한 중추적인 시험은 등록 허가를 얻기 위한 마지막 단계여야 합니다.

01:40:32 [W] 우리는 여전히 이 분자가 무엇을 할 수 있는지에 대해 많은 것을 배우고 있습니다.

01:40:38 [W] 따라서 우리는 계속해서 안전을 기록할 것으로 예상하며 다른 질문이 있을 수 있습니다. 한 가지 질문을 드리고자 합니다.

01:40:50 [W] 우리는 종종 12세 미만의 환자를 치료할 수 있습니까?

01:40:57 [W] 그리고 이것은 우리가 존재하는 것입니다.

01:40:59 [W] 할 수 있는지 알아보도록 하겠습니다.

01:41:04 [W] 그래서 그것은 곧 질문이 될 수도 있고, 우리가 테스트와 어린이와 어린 아이들에게만 허가를 받을 수 있는 질문일 수도 있습니다.

01:41:14 [W] 엄청난.

01:41:14 [W] 감사합니다. Doris, Anjou가 여기에서 말하고 있습니다.

01:41:20 [W] Emmanuel 나는 유럽에서 3상 연구가 있고 이 연구에 가짜 그룹이 있을 것이라고 들었습니다.

01:41:28 [W] 그래서 매뉴얼에서 시작하겠습니다. 전적으로. 우리는 2022년에 가능한 한 빨리 유럽 임상 시험 시설인 Sirius와 Celeste를 열 수 있기를 희망할 것이며 Dorian에는 가짜가 있을 것입니다.

01:41:43 [W] 둘.

01:41:42 [W] 예, 통제력을 갖는 것은 설득력 있는 데이터를 얻는 데 정말 중요합니다. 환자마다 극적으로 다를 수 있는 질병이 있는 경우.

01:41:54 [W] 그건, 레귤레이터와 협상 테이블이 아니라는 점입니다.

01:42:02 [W] 그들은 우리가 보는 모든 효과가 우연 효과가 아니라 진정한 효과라는 것을 환자를 보호하기를 정말로 원합니다. 그리고 이것이 이유입니다.

01:42:12 [W] 우리가 통제권을 가지고 있다고 주장하며 이 상황에서 그것은 가짜 통제 직조입니다.

01:42:21 [W] 우리는 Sham 그룹에 할당된 숫자를 가능한 한 작게 유지할 수 있었습니다.

01:42:29 [W] 재판의 유효성을 유지하기 위해.

01:42:33 [W] 그리고 여기에서 말하는 Andy입니다.

01:42:34 [W] 그게 정말 핵심인 것 같아요. 여러분 모두처럼.

01:42:37 [W] 자, 임상 연구 여정은 데이터가 깨끗한지 확인하기 위해 특정 작업을 수행해야 하고 가능한 한 많은 효과를 보여주고 대조군이 다음과 같은 역할을 한다는 사실입니다. 잘.

01:42:52 [W] 대부분의 경우 규제 요구 사항입니다.

01:42:56 [W] 한번 봅시다.

01:43:03 [W] 이것은 Sean의 질문이며 ProQR do의 긍정적인 결과는 72주의 통제에 비해 8자 개선이 있음을 보여줍니다.

01:43:11 [W] 이것은 거의 전적으로 치료받지 않은 사람들의 증서 생성 때문입니다. 저는 사실 약 8글자 정도의 열화를 겪고 있습니다. 우리를 평소에 개인에게 하는 DJ의 비율을 생각해 주실 수 있나요?

01:43:26 [W] 이론상으로는 비전에 대한 비전 개선이 없을 것입니다. 그리고 가장 좋은 시나리오는 치료받은 부위의 안정화입니다. 나는 개인에 관계없이 열화율.

01:43:35 [W] 동안, 당신은 나를 원하십니까?

01:43:36 [W] 그걸 가져가시겠습니까?

01:43:37 [W] 예.

01:43:38 [W] 말하는 동안.

01:43:39 [W] 감사합니다. 감사합니다. 질문에 대해 Shawn은 자연 질병의 일부로 악화 속도, 진화를 설명합니다.

01:43:48 [W] 그것은 우리가 시험 과정에서 상대적으로 빠르게 보인다는 관찰을 공유한 것입니다. 소수의 환자라는 점을 염두에 두십시오.

01:44:03 [W] 나는 중추 연구입니다.

01:44:02 [W] 우리는 올라가고 있습니다.

01:44:03 [W] 약 200명의 환자가 2.3상 프로그램에 참여하여 치료받은 사람과 치료되지 않은 사람 사이에 명확한 아이디어를 얻으려고 노력할 것입니다.

01:44:16 [W] 따라서 첫 번째 부분에서 우리는 귀하의 내용을 공유하고 두 번째 부분에 대한 귀하의 의견과 일치시킵니다.

01:44:27 [W] 머무르는 것보다 더 좋은 것을 기대할 수 있습니까?

01:44:29 [W] Abelization, 일단 광수용체가 악화됩니다. 그들은 재생하지 않습니다.

01:44:40 [W] 이것이 우리가 최대 수의 광수용체를 보존하고 그 기능을 도울 수 있는지 확인하는 이유입니다.

01:44:50 [W] 따라서 학위도 있습니다. 저는 배우고 있습니다.

01:44:59 [W] 그리고 이것은 약간의 개선으로 이어질 수 있지만 이것이 진정한 지속 가능한 개선인지 여부를 말하기에는 너무 이릅니다.

01:45:09 [W] 그래서 안정화가 우리의 즉각적인 목표라고 생각하며 그보다 더 나은 것을 할 수 있는지 매우 신중하게 검토할 것입니다.

01:45:22 [W] 대단해.

01:45:23 [W] 감사합니다. 앤디가 말하는거야?

01:45:24 [W] 대단해.

01:45:25 [W] 도리스 사람.

01:45:25 [W] 감사합니다.

01:45:26 [W] 이러한 참여 커뮤니티를 보는 것은 정말 멋진 일입니다.

01:45:28 [W] 우리는 통과하려고 노력하고 있습니다.

01:45:29 [W] 나는 또한 라인에 있는 라틴 아메리카 커뮤니티 동료들을 위해 약간의 번역을 하고 있습니다.

01:45:37 [W] 주목할 가치가 있습니다. 라틴 아메리카 사이트가 있기를 바랍니다.

01:45:43 [W] 우리는 현재 브라질과 협력하고 있습니다.

01:45:45 [W] 그러나 우리가 하고 있다는 점은 주목할 가치가 있습니다. 당신이 연구에 대한 자격이있는 경우. 우리는 과거에 사람들에게 여행을 허용했습니다.

01:45:53 [W] 글썄요, 숙박비를 지불하는 것, 그것은 모두 후원자가 부담합니다. 후원자는 당신을 올바른 센터로 데려다 주는 시험을 위해 우리입니다.

01:46:00 [W] 이 시점에서 언급할 가치가 있습니다. 이 모든 도움에 대해 Usher Coalition에 감사를 표하지 않고는 계속 진행할 수 없다는 것입니다.

01:46:10 [W] 우리는 Usher Coalition과 함께 새로운 이니셔티브를 막 시작했으며 이는 ProQR 내에서 지역 사회 봉사 활동과 현재를 책임지고 있는 사람으로서 제 마음에 매우 가깝습니다.

01:46:23 [W] Usher Usher 레지스트리 활용.

01:46:26 [W] 정말 여러분 앞에 섰습니다.

01:46:28 [W] 오늘날 우리가 하는 것처럼, 우리가 당신을 우리의 시련에 참여시킬 수 있는지 알아보기 위해 실제로 활용하고 있습니다.

01:46:35 [W] 주목할 가치가 있습니다.

01:46:36 [W] Proqr.

01:46:37 [W] 우리는 공포를 모집하는 것이 매우 어렵다는 것을 알았습니다. Lca10 시험. 이것은 드문 조건입니다.

01:46:42 [W] 이것은 심장병이나 그런 것이 아닙니다.

01:46:45 [W] 가능한 한 빨리 가져옵니다.

01:46:46 [W] 우리는 가능한 한 빨리 모든 사람에게 의약품을 바랍니다, 그렇죠?

01:46:52 [W] 나는 헛소리를 멈추고 여기에서 마지막 직선으로 갈 때 더 많은 질문을 할 것입니다.

01:46:58 [W] 도린.

01:47:03 [W] Jim이 묻습니다. 미국에 사이트가 한 곳도 없는 것 같습니다.

01:47:07 [W] 텍사스에서.

01:47:07 [W] DC 지역을 포함하여 우리 주변에 다른 사이트가 있습니까? 제 생각에는 짐을 가져갈 수 있습니다. 우리는 미국에서 여러 사이트를 열 수 있기를 희망하며 앞서 언급했듯이 사이트마다 윤리 절차가 다르며

01:47:22 [W] 모든 다른 승인 프로세스를 통해 우리는 모든 과학과 안전을 승인합니다. 그 임상 측면에서.

01:47:30 [W] 우리는하다.

01:47:31 [W] 미국에 꽤 많이 있기를 바랍니다. 따라서 업데이트를 위해 당사 웹 페이지를 시청하거나 ProQR.com의 환자 정보에서 저에게 직접 연락할 수 있습니다. 그리고 나는 당신을 많이 알고 있습니다. 여기에서 몇 가지 이름을 인식하고 있습니다. 질문하기, 누가, 누가 우리에게 편지를 썼는지

01:47:46 [W] 문의해 주셔서 감사합니다.

01:47:46 [W] 즉, 가능한 한 빨리 사이트를 열도록 최선을 다하고 있습니다. 그러나 일부는 다른 것보다 조금 더 오래 걸리며 이는 임상 연구에서 정상적인 현상입니다.

01:47:59 [W] 나는 우리가 이것에 대해 많이 대답했다고 생각합니다.

01:48:08 [W] 네, 제 생각에는

01:48:16 [W] 이들 중 상당수는 불행히도 직접 대답할 수 없는 의학적 질문을 하고 있습니다.

01:48:22 [W] 그랬으면 좋겠습니다.

01:48:32 [W] 그게 전부인지 확인하겠습니다. 채팅 기능을 확인하여 여기에 있는 내용을 확인하겠습니다.

01:48:41 [W] 나와 함께 참아.

01:48:42 [W] 모든 사람.

01:48:45 [W] 질문이 많으니 양해 부탁드립니다.

01:48:50 [W] 이것은 아주 좋은 것입니다.

01:48:51 [W] Christina는 청력 상실에 영향을 미칠 수 있는지 확인하기 위해 QR-421a를 귀에 주사할 계획이 있는지 묻습니다.

01:49:00 [W] 저 도린을 데려갈까요, 아니면 뛰어내리겠습니까? 도약. 다시? 저 할 수 있어요.

01:49:05 [W] 할 수 있어요.

01:49:06 [W] 그래서 현재 우리는 눈에 올테부르센에 집중하고 있습니다.

01:49:10 [W] 다니엘이 정말로 반복한 것이 있습니다.

01:49:12 [W] 그래서 우리의 초점은 실제로 안구에 있습니다. 특히 저는 사내 위원회가 있기 때문에 이 질문을 많이 받습니다. 그리고 사내 위원 중 한 명이 귀에 대해서도 정말 묻습니다.

01:49:28 [W] 앞으로 어떤 일이 벌어질지 모르지만 현재 ProQR은 눈과 그것을 통해서만 집중하고 있습니다. 그래서 우리는 귀도 하지 않을 것입니다.

01:49:37 [W] 오른쪽.

01:49:44 [W] 의식하는. 크리스탈이 1분 남았습니다. 우리가 이 모든 불행한 일을 겪게 되지 않겠습니까?

01:49:48 [W] 네, 아마 많이 쉬세요. 인수합병을 원합니다.

01:49:51 [W] 이것은 Krista가 말하는 것입니다.

01:49:53 [W] 예, 엄청나게 많은 질문을 받았습니다.

01:49:58 [W] 이것은 매우 흥미 롭습니다.

01:49:59 [W] 우리가 이 열정을 보기 위해 필요한 것입니다.

01:50:02 [W] 다루지 못한 질문을 포착하기 위해 최선을 다할 것입니다. 되풀이 등이 많았지만 최선을 다하겠습니다.

01:50:13 [W] 일종의 문서화 및 개인과의 일부 후속 조치를 수행할 수 있습니다.

01:50:17 [W] 개인의 지원과 의학적 유전자 검사 분석 등의 모든 것이 많은 것으로 알고 있습니다.

01:50:25 [W] 그래서 이것은 환상적이었습니다.

01:50:27 [W] 이것은 매우 훌륭했습니다.

01:50:29 [W] 오늘 발표를 해주신 Doreen, Andy에게 다시 한 번 감사드립니다. 그리고 이 중요한 정보를 공유합니다.

01:50:38 [W] 월, 이건 우리 200명이 넘는 사람들 사이에서 하는 대화잖아요, 그렇죠?

01:50:42 [W] Usher syndrome Coalition과 연락하여 조달 및 임상 시험 장소, 그 모든 것이 출시되는 대로 연락하십시오. 해당 정보가 제공될 것입니다.

01:50:52 [W] 그러나 Coalition은 이것이 귀하에게 적합한지, 그리고 다음 단계가 무엇인지 알아내기 위해 귀하 모두를 지원하기 위해 여기 있습니다.

01:51:04 [W] 우리는 자원입니다. 제발. 주저하지 말고 연락해 주십시오. 이 웨비나의 녹음 파일에 녹취록이 포함되어 있습니다.

01:51:12 [W] 그것도 모두. 다시 한 번 이 행사에 참여해 주신 모든 분들께 감사드리며 곧 이야기하겠습니다.

01:51:23 [W] 낮과 저녁 모두 멋진 휴식을 취하세요. 감사합니다.