

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

[W] Hola a todos.

[W] Mira, viene mucha gente, vamos a darles a cada uno un minuto para registrarse.

[W] Bueno.

[W] Todavía estoy viendo los números arrastrarse hacia arriba.

[W] Tenemos una asistencia muy grande hoy.

[W] Esto es muy emocionante.

[W] Voy a dar otros 30 segundos más o menos para que los asistentes inicien sesión y luego repasaremos las funciones de accesibilidad disponibles hoy antes de pasar a la presentación.

[W] Bien, hola a todos.

[W] Soy Krista Vasi y soy el director ejecutivo de la Coalición del Síndrome de Usher y les doy la bienvenida a todos ustedes hoy para esta presentación antes de dar una bienvenida y una introducción. Quiero repasar las funciones de accesibilidad.

[W] Todo el mundo tiene acceso completo.

[W] Tenemos traducción al español, por lo que puede habilitarla haciendo clic en el ícono del globo terráqueo en la barra de herramientas inferior y seleccionando español.

[W] Y si seleccionas español, tienes la opción de silenciar el audio original en inglés.

[W] Voy a darle a nuestro intérprete de español un minuto para traducir eso y permitir que los asistentes enciendan ese audio de traducción al español.

[W] Buenas tardes, habla Krista Vasi, el director ejecutivo de la Coalición del Síndrome de Usher.

E tenemos disponible interpretación en español.

Si ustedes van al fondo, del menú de la barra de abajo de su y hacen click en el globo pueden elegir la opción para español y eso les da la opción también de silenciar el ponente original en inglés.

Si e de modo que el resto de la presentación pueden escuchar la interpretada en español.

[W] Bien, espero que nuestros amigos de habla hispana estén saltando al audio en español ahora mismo.

[W] Aprovecharé esta oportunidad para recordarme a mí mismo y a nuestros otros oradores hoy que tenemos muchos tipos diferentes de intérpretes.

[W] Debo ponerme al día y también identificarme cada vez que estoy hablando o cualquiera de los otros presentadores, siempre es bueno identificarse primero y luego hablar.

[W] Prestemos nuestra atención a la otra gran función de accesibilidad de hoy, que es Wordly.

[W] Este es un sistema de traducción impulsado por IA que traducirá este seminario web a más de 20 idiomas y lo activará

[W] Puede hacer clic en el enlace que proporcionamos en el cuadro de chat, o puede hacer clic en la flecha hacia abajo. Junto al botón en vivo, en la parte superior izquierda de su pantalla y seleccione ver

[W] En el servicio de transmisión en vivo personalizado que abrirá una pestaña del navegador. Que tiene la palabra mentira.

[W] La aplicación Wordly que luego puede seleccionar su idioma y ver los subtítulos en su idioma.

[W] Usted puede. También si hay opciones para algunos idiomas para escuchar tu idioma.

[W] Escucha también La Voz. Entonces, con suerte, todos pueden acceder a la traducción de Wordly para cualquiera que esté buscando.

[W] Para subtítulos e inglés. Hemos habilitado la transcripción de trance en vivo en Zoom.

[W] Entonces, seleccione el ícono CC en la parte inferior. A la derecha de la pantalla en la barra de menú de Zoom, activará los subtítulos.

[W] También puede seleccionar la configuración de subtítulos y ajustar el tamaño a sus necesidades visuales.

[W] Veamos, hoy también tenemos a nuestros intérpretes de ASL con nosotros.

[W] Tenemos tanto a Melissa como a Dena y me encanta que Melissa y Dena saluden e identifiquen.

[W] Hola.

[W] Entonces, cualquiera que use la interpretación de ASL hoy, puede identificar a Melissa y Dena.

[W] Para que siempre estén visibles en su dispositivo personal.

[W] Lo harás haciendo clic. Los tres puntos en la parte superior de su video y creo que eso cubre las diferentes accesibilidades.

[W] ¿Qué fue eso?

[W] Los subtítulos son buenos, funcionan y los intérpretes son visibles.

[W] Buen español.

[W] Aprende el idioma español.

[W] Los intérpretes están listos.

[W] Si.

[W] Estoy viendo muchos síes.

[W] Maravilloso y genial.

[W] Aprovecharé este momento para presentar rápidamente a Brian.

[W] Es nuestro soporte técnico.

[W] Si tiene alguna pregunta o algún problema durante el seminario web, puede chatear con Brian directamente y él puede ayudarlo.

[W] Bien, continuamos con el programa, bienvenidos de nuevo. Antes de presentarles a nuestros invitados de ProQR Therapeutics, quiero dirigirle unas palabras a indicar, el

[W] Si en contra de este momento.

[W] La Coalición del síndrome de Usher se formó hace más de 10 años con este momento exacto en mente.

[W] Nuestra razón de existir es cerrar la brecha entre los investigadores y las personas que viven con el síndrome de Usher.

[W] En 2008. La Coalición se creó con la sincera creencia de que podríamos encontrar apoyo y conectar a todas las personas con síndrome de Usher.

[W] Y luego asegurarse de que los ensayos clínicos para el síndrome de Usher tengan éxito.

[W] Las personas que viven con esta condición.

[W] en pocas palabras, la investigación no puede suceder. Sin ti no se pueden desarrollar tratamientos sin ti. Los expertos que viven con el síndrome de Usher.

[W] Es por eso que estoy increíblemente emocionado por esta presentación de hoy.

[W] Por primera vez.

[W] Hay un ensayo clínico en etapa final para un tratamiento para el síndrome de Usher.

[W] Este es un hito digno de ser reconocido y celebrado.

[W] Y aunque este ensayo clínico en particular es para una población específica dentro de nuestra comunidad más amplia.

[W] Sé que esto es solo el comienzo de una nueva era en la investigación del síndrome de Usher, en la que la Coalición eventualmente puede reunir a todos para todos los tipos de Usher.

[W] Con la investigación que les beneficiará.

[W] Así que estoy muy contento de presentar a nuestro orador hoy.

[W] Madera de Doreen, de ProQR. Recientemente se unió al equipo y es la líder del proyecto de los ensayos del síndrome de Usher de los que escucharán hoy.

[W] Entonces, Doreen, te lo voy a pasar.

[W] Gracias.

[W] Gracias.

[W] Paso de Chris. Hola a todos.

[W] Buenas tardes.

[W] Buenas noches.

[W] Mi nombre es madera de Doreen.

[W] Mientras continuamos estos días de covid.

[W] Hago.

[W] Espero que todos estén bien.

[W] Esta es mi primera oportunidad de conocerte.

[W] Soy nuevo en ProQR, sabía de Oftalmología.

[W] En esta discusión de hoy.

[W] Quería agradecer a Usher Coalition por su maravillosa asociación continua con. Proqr.

[W] Vemos que es crucial tener socios tan fuertes que nos hagan rendir cuentas, respalden nuestro desarrollo clínico y se aseguren de que su voz sea escuchada.

[W] Usted la comunidad se escucha alto y claro en ProQR hoy. Te hablaré de lo que somos como pequeños.

[W] Biotech con sede en la ciudad holandesa de Leiden y en Cambridge, Massachusetts. ¿Qué estamos haciendo en la ciencia del RNA en el síndrome de Usher específicamente y otras afecciones oculares genéticas?

[W] Solo para presentarme.

[W] Mi función es liderar el proyecto qr-421a para nuestras acciones.

[W] Mi experiencia está en impulsar el desarrollo de nuevos medicamentos, para acercarlos al paciente. Justo antes de compartir las diapositivas. Quiero decir.

[W] Espero que mi acento escocés no sea demasiado fuerte.

[W] No dudes en decirme que disminuya la velocidad o que hable más claro.

[W] Así que voy a hablar durante unos 30 minutos, lo que debería dejar mucho tiempo para sus preguntas.

[W] Y acabo de comprobar, se puede ver una diapositiva.

[W] Sí, gracias.

[W] Estas son declaraciones prospectivas.

[W] ¿Quiénes somos?

[W] ProQR Terapéutica?

[W] Terapias de RNA para personas que tienen una condición ocular genética con la misión de detener la pérdida de visión, o incluso revertir algunos de los síntomas en el campo de las Terapias de RNA, ProQR.

[W] La vanguardia en la entrega de terapias dirigidas para personas con afecciones oculares genéticas, ya sea en la retina o en la parte posterior del ojo, como el síndrome de Usher o Fuchs y ethereal

[W] Distrofia, que es la córnea o la parte frontal del ojo.

[W] La ironía, las terapias, el uso del antisentido hace todo el antisentido. Nucleótidos más sobre qué es eso.

[W] más tarde. Y estos están diseñados específicamente para corregir la causa subyacente de la enfermedad en el RNA de una persona para detener la progresión de la enfermedad o incluso revertir los síntomas.

[W] Así que RNA, estamos hablando de ácido ribonucleico y es un componente esencial.

[W] De todas las células vivas.

[W] Estoy seguro de que muchos de ustedes habrán oído hablar del RNA o MRNA debido a las vacunas Pfizer y moderna.

[W] Estaba muy emocionada de recibir la vacuna para ver la ciencia implementada en una gran población.

[W] Así que es muy diferente a cómo estamos aplicando la ciencia.

[W] Todavía está fresco.

[W] La ironía se utiliza para la traducción.

[W] Este es el proceso en el que se crean las proteínas en la célula.

[W] El propio RNA se produce a partir del DNA.

[W] Saber qué es el DNA gracias a Jurassic Park.

[W] Sabemos lo que sucede cuando mezclamos un DNA de sapos con un DNA de dinosaurio y no es bonito y la terapia irónica está diseñada para corregir la mutación en el

[W] alguien con una enfermedad genética al corregir el error, el RNA se puede usar para crear la proteína que la célula necesita eliminando la causa subyacente

[W] Condición.

[W] Solo avance aquí.

[W] Esta diapositiva cuenta la historia de nuestra empresa ProQR fue fundada en 2012 por su actual director general.

[W] Daniel de Boer unos años antes. Daniel y su familia se enfrentaron al diagnóstico de fibrosis quística en su hijo recién nacido.

[W] Este es un raro. Enfermedad genética incurable Daniel.

[W] Ayuda de expertos en el campo del desarrollo de fármacos y formó ProQR para ayudar a personas como su hijo.

[W] Cuando surgieron tratamientos viables en la fibrosis quística, Daniel miró otras áreas claras.

[W] Alta necesidad insatisfecha.

[W] En este Punto de Reflexión para la empresa. Habíamos comenzado el trabajo clínico y la amaurosis congénita tipo Leber, 10, o lca10 y, por lo tanto, el cambio natural estaba ahí.

[W] El tiempo ProQR ha cambiado.

[W] su enfoque en las enfermedades oculares genéticas.

[W] Desde 2017, hemos visto a ProQR concentrarse y avanzar en la investigación clínica.

[W] Eso es investigación involucrando.

[W] Invite a las personas que viven con lca10 con el tipo de síndrome de Usher a una retinitis autosómica dominante.

[W] Pigmentosa, y más recientemente distrofia corneal endotelial de Fuchs.

[W] En enero del año pasado, habíamos inscrito completamente nuestro estudio fundamental de la fase dos, tres en lca10, que nos lleva como empresa a una nueva era en la que

[W] Para tomar porque a los gustos de las Agencias Reguladoras, a la FDA a Ema y Europa para emitir, carbón re en el Reino Unido para registrar una terapia en

[W] tu 22

[W] Entonces, como dijo Krista, es un momento muy emocionante para la comunidad y para nosotros como empresa.

[W] Se estima que cinco millones de personas en el mundo viven actualmente con enfermedades oculares genéticas, pero probablemente sea aún más debido a la falta de conciencia sobre las pruebas genéticas.

[W] Y de público conocimiento para la gran mayoría de estas personas.

[W] No hay Tratamiento disponible para la pérdida de visión y la eventual ceguera que puede ocurrir.

[W] Creemos que la mejor manera de cumplir esta misión es desarrollar terapias de RNA para enfermedades oculares genéticas.

[W] Hemos creado una plataforma para desarrollar estas terapias altamente específicas para abordar la causa subyacente de la enfermedad y mejorar la visión.

[W] Y con más de 300 genes, identificados que causan enfermedades oculares genéticas.

[W] Existe una inmensa oportunidad de desarrollar terapias para personas necesitadas, por ejemplo, lca10 contraen enfermedades. Eso provoca un error una mutación en el

[W] Cualquiera debido a la mutación y la proteína esencial en el I no puede funcionar o falta, y esto conduce al deterioro de las células de detección de luz.

[W] Como para detectar células en la retina.

[W] Por lo tanto, en el campo de la terapia de RNA, ProQR está a la vanguardia de la entrega de terapias dirigidas para personas con enfermedades oculares genéticas, nuestras terapias de RNA, uso,

[W] Uso terapias de RNA, uso nucleótidos antisentido que están diseñados específicamente para corregir la causa subyacente de la enfermedad en la condición de una persona y para detener la enfermedad.

[W] O incluso para revertir los síntomas.

[W] Entonces, ¿qué son estos, todos esos nucleótidos antisentido de hace mucho tiempo? Consisten en tramos cortos de RNA sintético, que se modifican químicamente para aumentar

[W] y su captación en las células.

[W] Esta técnica es un enfoque establecido para tratar enfermedades genéticas y está aprobada.

[W] Las terapias de RNA que se utilizan para tratar a los pacientes en la actualidad.

[W] Entonces, ¿cómo entregamos el tratamiento?

[W] Para que una droga funcione. Primero, tiene que entrar en el cuerpo.

[W] Las terapias de RNA funcionan mejor. Si se administran directamente en el órgano afectado, en el caso de enfermedades de la retina, se pueden inyectar terapias en el vítreo.

[W] Esa es la cavidad que se llena con el líquido gelatinoso en este método de administración.

[W] Se conoce como vitriolo introvertido, inyección o IV T y es uno de los procedimientos más realizados para las enfermedades oculares.

[W] El procedimiento es realizado por médicos para afecciones comunes como la degeneración macular relacionada con la edad para la retinopatía diabética y la oclusión de la vena retiniana.

[W] Entonces IV T es diferente de la inyección subretiniana. El método utilizado para la terapia génica, que requiere una delicada cirugía de retina.

[W] ¿Cuál es el procedimiento para la entrevista?

[W] Inyección de rastro?

[W] ¿Todo el procedimiento toma alrededor de 10 a 15 minutos y solo se realiza en el consultorio del médico?

[W] ¿Mientras el paciente está sentado en una silla?

[W] Se adormece el ojo para que no duela.

[W] Una vez preparado el ojo.

[W] Se le pedirá al individuo que mire en una dirección particular.

[W] Mientras que el medicamento se inyecta en la parte blanca del ojo con una aguja muy fina.

[W] Entonces, ¿cómo podemos probar nuestras moléculas de RNA? ¿Nuestra innovación? El equipo siempre está buscando nuevas técnicas.

[W] Usamos pequeñas biopsias de piel de individuos para crear modelos vivos de copa óptica para probar nuestros medicamentos y ver si tenemos compromiso con Target.

[W] incluso antes de inyectar en el ojo de alguien.

[W] Sobre la ironía. ¿Y cuál es la diferencia con el DNA para aquellos en el seminario web que quizás no puedan ver el gráfico?

[W] Déjame describirlo en la parte inferior.

[W] Tenemos una doble hélice de DNA, como yo. Imagínate. La mayoría de nosotros estamos familiarizados con esto por encima del DNA.

[W] Tenemos un RNA de cadena sencilla. Como se mencionó previamente. Este RNA se utiliza para la traducción.

[W] En el proceso por el cual se crean proteínas en una Célula. El propio RNA se produce a partir del DNA en un proceso llamado transcripción.

[W] Terapia de genes.

[W] Generalmente hace alteraciones permanentes a la terapia génica del DNA, actúa directamente sobre el gen causante de la enfermedad y requiere vectores

[W] Las células objetivo. La edición de genes cambia directamente.

[W] el DNA

[W] Por el contrario, las terapias de RNA funcionan a nivel de RNA.

[W] Cualquiera tiene un efecto transitorio y no altera el genoma.

[W] Entonces, antisentido todo hace, los nucleótidos no requieren vectores para acceder a las células objetivo.

[W] Vendremos en dos más. Esto más adelante.

[W] Entonces, gracias por ser paciente conmigo para llegar a la parte de la charla que creo que les interesará a la mayoría de ustedes.

[W] Nuestra investigación en curso para nosotros a una retinosis pigmentaria mediada y síndrome de Usher.

[W] QR-421a.

[W] Ese es el nombre del tratamiento.

[W] Es una investigación.

[W] Terapia de RNA diseñada para omitir el Exón 13 y el RNA con el objetivo de detener la pérdida de visión.

[W] Es muy específico del Exón 13.

[W] Así que esto es realmente ciencia genética.

[W] Quiero agradecer a nuestros socios de la fundación que lucha contra la ceguera, quienes realmente han apoyado financieramente nuestro programa.

[W] así que un poco sobre el síndrome de asegurar y el progreso, estamos haciendo

[W] Hemos hablado de la ciencia. Y ahora, quiero hablar sobre las noticias más recientes de marzo. El año pasado.

[W] Nos complace anunciar los resultados positivos de nuestro programa de síndrome de Usher y retinitis en el estudio clínico, que se denomina Stellar, que cumplió con todos los objetivos establecidos.

[W] Esto marca un hito crucial en nuestra investigación en curso: la terapia de RNA en fase de investigación.

[W] QR-421a un nombre pegadizo.

[W] Sé que parece detener la pérdida de visión en personas con una mutación en una parte específica del arco de un gen, la parte llamada Exón 13.

[W] QR-421a, funciona al unirse a la sección mutada y excluye al Exón 13 del RNA.

[W] Silbido.

[W] Las células de la retina pueden entonces producir una carrera un poco más corta, pero funcional, hacia una proteína. El ensayo clínico Stellar fue para ver si este podía detener o revertir la visión

[W] Síndrome seguro.

[W] Entonces, esta es una imagen del diseño del ensayo clínico. Las diferentes fases del desarrollo clínico tienen que ver con la recopilación de datos y conocimientos.

[W] Vale la pena señalar que este diseño consistió en tres dosis diferentes probadas en 20 participantes de ensayos clínicos con un período de seguimiento de dos años.

[W] Los participantes fueron asignados al azar para recibir qr-421a o Sean en un ojo y se dejó el otro ojo.

[W] sin tratar como control.

[W] Para esos Sharm. Aleatorice a los participantes y me sometí a una inyección real ficticia e introvertida.

[W] Así que no hubo penetración del ojo.

[W] y el Sham. El brazo se usa solo con fines de enmascaramiento.

[W] Entonces, ¿qué quiero decir con enmascarar?

[W] Es una forma de esconderse.

[W] Qué tratamiento ha recibido el paciente para reducir el sesgo.

[W] Dadas las diferentes tasas de beneficio de la progresión de la enfermedad entre los participantes y el pequeño número de participantes expertos. Cree que el mejor control es el no tratado,

[W] Estoy en el mismo ensayo, participante.

[W] Entonces, el objetivo de este estudio de dosis única fue identificar para fines de registro. ¿Qué significan esos qué intervalo de dosificación en función del inicio?

[W] ¿La durabilidad y la disminución del efecto y la población objetivo para la próxima etapa de desarrollo clínico?

[W] Y la noticia positiva es que el estudio cumplió con todos los objetivos establecidos.

[W] También encontramos dos poblaciones tempranas. Progresión moderada de la enfermedad y progresión avanzada de la enfermedad. Esto es importante y me referiré a esto más adelante.

[W] Aquí está el resumen de lo que vimos en esta prueba de Stellar. Fue un ensayo clínico de fase 1, dos para probar si es el

[W] Al ensayo clínico para probar, si es la molécula qr-421a es segura y el efecto sobre la visión.

[W] Se observó que el medicamento era seguro y bien tolerado sin gravedad.

[W] Eventos adversos informados.

[W] La prueba clínica del concepto se estableció sobre la agudeza visual mejor corregida.

[W] eso es bcva o puede que lo sepas. Como la tabla optométrica también en perimetría estática, que se utiliza para medir, retinol, sensibilidad.

[W] Y estos fueron respaldados por importantes puntos finales secundarios como

[W] Imágenes OCT, que analizan la retina, el grosor y la microperimetría.

[W] Además, hemos recopilado la información clave para llevar adelante el programa, incluido el registro correspondiente, y señalar las puertas.

[W] Se ha identificado el intervalo de dosificación que se utilizará y la población de estudio óptima para el próximo ensayo.

[W] Así que estoy feliz de decir que luego nos propusimos el desafío de comenzar.

[W] Estudios Pivotales a fines del año pasado.

[W] Uno estaba en la población de pacientes tempranos a moderados, uno en el grupo de enfermedad avanzada.

[W] Así que tuvimos un desafío difícil para comenzar a finales de año, y estoy muy contento de decir que los primeros pacientes ya recibieron la dosis en diciembre.

[W] Hemos visto un beneficio en todos los pacientes tratados en el estudio Stellar.

[W] que incluyó participantes del ensayo con pérdida de visión tanto avanzada como de temprana a moderada.

[W] Y esta definición entre los dos grupos será importante para las próximas etapas de investigación.

[W] Tenemos un blog completo y una sesión informativa para la comunidad en nuestro sitio web.

[W] Si la gente está interesada en leer más.

[W] Ninguno, visto Krista nos dijo que mucha gente quería saber sobre riesgos y seguridad.

[W] Esta es una parte fundamental de la investigación clínica.

[W] Nos dijo que mucha gente quería saber sobre riesgos y seguridad.

[W] Esta es una parte fundamental de la investigación clínica.

[W] Vale la pena señalar que siempre existe un riesgo al realizar este tipo de estudios y espero que al revisar los aspectos de seguridad podamos mostrarles cómo hacemos estos ensayos clínicos.

[W] Hacemos que estos ensayos clínicos sean lo más seguros posible.

[W] Nos tomamos la seguridad muy en serio y seguimos trabajando con las autoridades reguladoras y las juntas de ética para asegurarnos de que los participantes estén bien atendidos durante todo el estudio.

[W] Me disculpo.

[W] Creo que perdimos la conexión por un momento.

[W] Si.

[W] Bien, un momento.

[W] La seguridad fue una gran parte de este ensayo clínico, el objetivo principal del estudio se centró en la seguridad.

[W] Se observó que QR-421a es seguro y bien tolerado, con más de 3700 participantes, días de seguimiento.

[W] Eso es equivalente a años de seguimiento en este estudio.

[W] Importante, no, en serio. Se observaron eventos adversos y no hubo casos de inflamación.

[W] Sin embargo, un paciente trabajador de empeoramiento de cataratas preexistentes. En ambos ojos. Ambos se consideran no relacionados con el tratamiento, se sabe que las cataratas ocurren como parte de.

[W] De cataratas preexistentes en ambos ojos.

[W] Ambos se consideran no relacionados con el tratamiento, se sabe que las cataratas ocurren como parte de los antecedentes del síndrome de Usher y ocurren en más del treinta por ciento de los pacientes.

[W] No se informaron nuevas cataratas en el estudio.

[W] Edema macular cistoide, oc, ye se asocia con frecuencia a retinitis. Pigmentosa, y forma parte de la historia natural de la enfermedad en más del 30 por ciento

[W] A de la enfermedad y más del 30% de los pacientes.

[W] Por lo general, se maneja adecuadamente con gotas oftálmicas tópicas.

[W] No, se produjeron nuevos casos de CME durante el estudio.

[W] Sin embargo, un paciente que ya tenía CME, se inscribió en el grupo, recibió una dosis de 200 microgramos, el CME progresó durante el estudio, pero fue

[W] Smile to no manejado con terapia estándar de atención.

[W] Por lo tanto, nos complace ver que qr-421a muestra un perfil tan seguro y bien tolerado en este estudio.

[W] Pero, ¿qué significa el ensayo clínico exitoso?

[W] Además del perfil de seguridad.

[W] También observamos la agudeza visual mejor corregida y lo que vimos fue estabilización en todos los ojos tratados.

[W] Ahora. Vale la pena señalar esto.

[W] Fue sólo 11 inyección.

[W] Se observó estabilización de la visión en los tratados. I versus declive en los no tratados.

[W] Yo en todos los pacientes.

[W] Entonces vimos un deterioro del I no tratado en línea con la Historia Natural.

[W] Cada uno tenía un beneficio de seis letras en la tabla optométrica.

[W] Y en la semana 72. Fue un beneficio de ocho letras que mostró un efecto sostenido consistente con una vida media larga de qr-421a.

[W] Todos los participantes tratados tenían una amplia gama de pérdida de visión o agudeza visual.

[W] Por lo tanto, ver una estabilización como esta fue genial, pero aprendimos algo más.

[W] Que el cambio en la respuesta b.c., A bcva es impulsado por la población con enfermedad avanzada.

[W] ¿Ahora por qué es esto importante?

[W] Estamos empezando a aprender lo que podríamos hacer en nuestra próxima fase de desarrollo clínico.

[W] Ahora, vimos la estabilización en el ojo tratado después de una sola dosis.

[W] Centrándonos en la población avanzada, el beneficio a la vista. Gráfico fue un cambio medio de 9,3 letras.

[W] Me refiero a una diferencia de 13 letras en la semana 72, el punto final de la semana 72 es, por lo tanto, el momento en que veremos el punto final primario en nuestra fase 3.

[W] Mi en la población avanzada, un estudio llamado Sirius.

[W] Así que hemos identificado criterios de valoración para proponer a los organismos reguladores, que pueden considerar para un nuevo medicamento, para la aprobación del producto.

[W] Estos son bcva para la población avanzada y para la población moderada temprana.

[W] En cambio, estamos mirando la perimetría estática.

[W] Vimos a los participantes responder sobre criterios de valoración o medidas que están relacionadas con su etapa inicial de la enfermedad.

[W] Y vimos también que los diferentes puntos finales se mueven en concordancia entre sí.

[W] Entonces, en esta prueba de Stellar, hemos recopilado toda la información.

[W] Necesitamos avanzar hacia la etapa fundamental, acercándonos a registrar este medicamento para los pacientes.

[W] Entonces, en esta diapositiva, mostramos el diseño del estudio para Sirius.

[W] Esto es en pacientes avanzados.

[W] y si se emite sometido a protocolos para ensayos de Fase 2, 3,

[W] la FDA estuvo de acuerdo con nuestro intervalo de dosificación mensual propuesto y lo confirmó dado el perfil de seguridad. No tenemos que hacer más rangos de dosis.

[W] Por lo tanto, este primer ensayo llamado Sirius se centrará en la población avanzada y utilizará bcva como criterio principal de valoración.

[W] El segundo ensayo que mostraré en un minuto es similar, pero estará en la población temprana a moderada y usará la perimetría estática como el

[W] Y utilice la perimetría estática como criterio principal de valoración.

[W] Estas dos poblaciones tenían características diferentes.

[W] Así que decidimos estructurarlo. Como dos estudios paralelos que nos darán dos tiros a portería, para su registro.

[W] Entonces, el estudio serio está utilizando el estándar de oro de bcva, ya que sabemos que solo las personas con enfermedad avanzada pueden responder en este punto final.

[W] Solo incluirá pacientes que muestren alguna pérdida de agudeza visual al inicio.

[W] Los pacientes de este estudio tendrán una agudeza visual de 20/40 o peor, lo que significa que pueden leer todo, excepto las líneas más pequeñas en la tabla optométrica de los participantes del ensayo clínico.

[W] Los brazos recibirán una de dos dosis diferentes de qr-421a. Cada seis meses, el criterio principal de valoración aquí, bcva y dado el tamaño del efecto observado en

[W] Y anticipamos evaluar el punto final después de 18 meses de seguimiento.

[W] El objetivo será estabilizar la bcva en los ojos tratados con qr-421a. Si bien se puede esperar que el brazo de control se deteriore y se alinee con el

[W] La enfermedad.

[W] Como bcva es el estándar de oro en oftalmología, desarrollo de fármacos. Una lectura de riesgo de beneficios positiva en bcva respaldaría, qr-421a

[W] Para pacientes con nosotros a una mutación del exón 13.

[W] Entonces, en paralelo, esto se verá muy similar. Pero esto es Celeste el estudio en pacientes tempranos a moderados.

[W] Y aquí, el criterio principal de valoración es la perimetría estática, medida a los 12 meses, punto veinte.

[W] Uno de los puntos finales secundarios clave será un curso de Movilidad, y quizás también OCT.

[W] Esta es la tomografía de coherencia óptica que analiza el grosor de la retina.

[W] El objetivo aquí será ver una mejora en la perimetría estática en línea con los datos del umbral de aprobación regulatoria del ensayo Stellar.

[W] Por lo tanto, para ambos estudios, estamos planificando la lectura principal después de repetir la dosis, pero podemos considerar ajustar el tiempo o agregar un análisis intermedio.

[W] Una vez que tengamos una línea, estos planes.

[W] Con los reguladores.

[W] Así que ahora sé algo emocionante.

[W] A un nombre para nuestra molécula.

[W] Es un placer hacértelo saber.

[W] Es un poco exclusivo.

[W] Esta es una noticia reciente que la Organización Mundial de la Salud ha aprobado ultevursen.

[W] Eso es todo en versión como el nombre de esta molécula. Lo que sucede es

[W] es que proporcionamos sugerencias para este nombre de propiedad de prioridad no patentada internacional y que dan su aprobación.

[W] Realmente emocionado de hacerle saber este hito.

[W] Nos está acercando un paso más a que esto se convierta en un producto real.

[W] Entonces, para cerrar, me gustaría decir un enorme.

[W] gracias al autor, asegure la coalición a Krista y Nancy por invitar a ProQR a acompañarnos y también a todos ustedes por escuchar y acompañarnos en este viaje en la ciencia genómica.

[W] Estoy feliz de tratar de responder cualquier pregunta candente que pueda tener.

[W] Gracias.

[W] Muchas gracias historia.

[W] Habla Krista Vasi.

[W] Y sí, tenemos muchas preguntas y sé que tienes a tu colega Andrew Bolan de ProQR contigo también.

[W] Entonces, tenemos mucha experiencia aquí para sentir estas preguntas.

[W] Andy, saluda un poco.

[W] Ahi esta. Muy bien, entonces

[W] Veamos.

[W] Sé que, Andy, también estabas observando las preguntas a medida que surgían y podría ser lo mejor. Si tipo de toma su pedido su pedido preferido. Si absolutamente.

[W] Hola, soy Heidi, de bolos hablando aquí.

[W] Es un placer estar contigo hoy.

[W] Creo que Doreen y yo podemos resolver estas preguntas.

[W] Así que podríamos hacer una breve sesión de preguntas y respuestas, a medida que avanzamos, muchas de las preguntas.

[W] Esperamos haber respondido en la presentación, pero podemos.

[W] A través de ellos paso a paso. Así que el primero que tenemos Doreen es Yo tengo Usher 2A.

[W] Mi oftalmólogo no hará la prueba genética para confirmar. ¿Qué otras opciones tengo viviendo en Western, Carolina del Norte?

[W] Bueno, me quedo con ese.

[W] Mike, precioso.

[W] Muchas gracias historia.

[W] Esta es Krista. Vazhi, hablando.

[W] Y sí, tenemos muchas preguntas y sé que tienes a tu colega Andrew Bolan de ProQR contigo también.

[W] Entonces, tenemos mucha experiencia aquí para sentir estas preguntas.

[W] Andy, saluda un poco.

[W] Ahi esta. Muy bien, entonces

[W] Veamos.

[W] Sé que, Andy, también estabas observando las preguntas a medida que surgían y podría ser mejor si tomas tu pedido como lo prefieres.

[W] Si absolutamente. Hola, soy Abby, bolos hablando aquí.

[W] Es un placer estar contigo hoy.

[W] Creo que Doreen y yo podemos resolver estas preguntas.

[W] Así que podríamos hacer una breve sesión de preguntas y respuestas, a medida que avanzamos, muchas de las preguntas.

[W] Esperamos haber respondido en la presentación, pero podemos.

[W] A través de ellos paso a paso. Así que el primero que tenemos Doreen es Yo tengo Usher 2A.

[W] Mi oftalmólogo no hará la prueba genética para confirmar. ¿Qué otras opciones tengo viviendo en Western, Carolina del Norte?

[W] Bueno, me quedo con ese.

[W] Mike, precioso.

[W] Gracias por la pregunta.

[W] La fundación que lucha contra la ceguera realiza un maravilloso programa de pruebas genéticas de acceso abierto. Y realmente, estoy un poco sorprendido de escuchar que su médico no me ayudará a dar este próximo paso como Doreen.

[W] Es un paso crucial en la medicina genómica que estamos desarrollando que necesita conocer su gen genético. Así que probablemente buscaría otro médico y realmente intentaría presentar la fundación que lucha contra la ceguera.

[W] Acción de lucha contra la ceguera, hace un Open maravilloso. Acceder al programa de pruebas genéticas. Y realmente, estoy un poco sorprendido de escuchar que su médico no me ayudará a dar el siguiente paso, tal como lo presentó Doreen.

[W] Es un paso crucial en la medicina genómica.

[W] que estamos desarrollando, que necesitas saber tu gen genético.

[W] Así que probablemente buscaría otro médico y realmente intentaría presentar la fundación que lucha contra la ceguera. Pruebas genéticas gratuitas.

[W] La siguiente pregunta es Doreen.

[W] ¿Cuál es nuestro candidato ideal para el ensayo clínico?

[W] Creo que hablaste un poco sobre los criterios de elegibilidad. Pero, ¿tienes algo más que añadir a eso?

[W] Hola, esta es Doreen.

[W] Sí, lo importante es que estés clínicamente diagnosticado y que tengas un perfil genérico que nos confirme a este Chewie.

[W] Excelente, 13 mutaciones.

[W] Eso es absolutamente crítico porque el objetivo es el ultevursen.

[W] para esa subpoblación.

[W] Otras cosas que te puede interesar saber es la edad.

[W] Comenzamos mirando solo a la población adulta y gracias a los comentarios de la comunidad. Rápidamente nos dimos cuenta de que teníamos que reducir eso.

[W] Entonces, si tiene 12 años o más, puede ser elegible para esta prueba.

[W] Genial.

[W] Gracias.

[W] La siguiente pregunta de Mark Tailed es qué tipo de prueba se probó en animales, lo cual es correcto.

[W] Y sabes, tenemos mucha información en nuestro sitio web si deseas hacer un seguimiento de eso, pero hemos hecho todos los elementos de seguridad que necesitábamos para llegar a los ensayos en humanos y Stellar fue el primero en estudiar en humanos.

[W] Que durante de Brian, ¿qué?

[W] porcentaje de nosotros que estamos dirigidos al tratar el exon 13

[W] Hola, Doreen, de nuevo.

[W] Es un pequeño porcentaje.

[W] Es cierto.

[W] Esperamos poder comenzar con esta mutación, pero lo anticipamos en el futuro desarrollo de fármacos.

[W] Veremos diferentes mutaciones.

[W] No sé una cifra exacta del porcentaje, pero estamos tomando un poco a la vez. Trayendo trayendo lo que podamos.

[W] Ella los pacientes y yo sólo añadiré a eso. Ya sabes, la técnica específica de exon 30 es Andrew Andy hablando, la específica o Krista.

[W] ¿Quieres entrar?

[W] ¿Tenemos a nuestro intérprete de vuelta?

[W] ¿espalda? No. Oh, pues no se produzca intérprete. Así que solo un segundo.

[W] Me disculpo.

[W] Dina ha vuelto ahora, Melissa.

[W] ¿Sabes lo que es esto?

[W] ¿es? Creo que Melissa se hace cargo. Bueno.

[W] Bien.

[W] De acuerdo, Sandy hablando aquí durante lo explicado bastante bien, ya sabes, la omisión del Exón 13 en su especificidad es que estamos tratando de crear un Usher funcional en proteína. y si

[W] Unos trece doce y catorce pueden unirse y crear ese Usher Usher más pequeño pero funcional en proteínas y eso es lo que el desarrollo clínico está tratando de ver si funciona.

[W] Siguiente pregunta, Doreen.

[W] ¿Dijiste que el próximo ensayo clínico tomará dos años y todo eso?

[W] Ya hemos hecho dos años también.

[W] Habla Doreen.

[W] Entonces, en el primer ensayo clínico, seguimos a los pacientes durante dos años.

[W] años. Así que escucharon correctamente son las pruebas de la fase dos, tres que acaban de comenzar. Seguiremos a los pacientes nuevamente durante al menos dos años.

[W] Además, no lo mencionamos todavía.

[W] Estamos brindando acceso abierto a través de un estudio de extensión.

[W] Para que los pacientes que ya han sido tratados en el primer ensayo puedan continuar recibiendo tratamiento hasta que el tratamiento esté disponible en general.

[W] Gracias.

[W] Aquí solo está hablando, Philly pasa la figura.

[W] Tres del PDF, el ProQR publicado con los resultados del estudio Stellar al final de las cuarenta y ocho semanas, el beneficio para los no tratados.

[W] Yo estaba más alto que el tratado.

[W] ¿Cómo puede ser esto?

[W] Puedo tener una puñalada en eso. Así que vimos que el efecto del medicamento desaparece después de un tiempo y esa fue una pieza crucial para entender en nuestro desarrollo porque en realidad demostró que el medicamento de RNA que hemos desarrollado no es permanente.

[W] No está cambiando tu DNA.

[W] Así que tendrá que tenerlo una y otra vez y esa es una de las piezas críticas de información. Nos reunimos para nuestros estudios de fase tres Sirius y Celeste.

[W] La siguiente pregunta, baja.

[W] Además de los pocos de estos.

[W] ¿Cuál es el significado de solo?

[W] Esto es de Mónica.

[W] Gracias Mónica. ¿Cuál es la importancia de medir solo bcva con respecto a los pacientes de Usher, que pueden no tener problemas de agudeza visual, sino sensibilidad a la luz y visión de túnel?

[W] ¿De qué? Entiendo. Nuestra visión periférica pfx antes que la visión central. ¿El medicamento solo funciona para estabilizar la pérdida de la visión central?

[W] Puedo tener una puñalada.

[W] Oh, Doreen.

[W] ¿Te gustaría ir?

[W] Yo durante el habla.

[W] Por lo tanto, estamos analizando pacientes que tienen una enfermedad en etapa temprana que comienzan a ver una reducción en la visión periférica.

[W] Nos volveremos más y más estrechos para que empecemos a tener un impacto en la Agudeza visual.

[W] Entonces, el producto debería funcionar para ambas poblaciones porque el problema es el mismo.

[W] Estamos reparando el reemplazo de la proteína ujier que se necesita para que los fotorreceptores funcionen.

[W] Así que estamos midiendo diferentes parámetros porque los pacientes están en diferentes etapas de la enfermedad.

[W] Solo debo agregar que mencionamos los parámetros principales, el criterio de valoración principal, pero mediremos toda una gama de criterios de valoración secundarios para averiguar qué está pasando.

[W] Gracias.

[W] Torian es Andy hablando aquí. Próxima pregunta. Pero antes de hacer eso, han estado surgiendo algunas preguntas.

[W] ¿Cómo se inscriben las personas en los ensayos clínicos? Y estamos extremadamente emocionados y hay mucho entusiasmo. El desarrollo clínico toma diferentes tiempos en diferentes geografías.

[W] Planeamos tener sitios en todo el mundo desde los Estados Unidos.

[W] Esperamos que Canadá Brasil y muchos países de Europa también.

[W] Pero cada país tiene un cronograma muy diferente para abrir un sitio clínico.

[W] Tenemos diferentes piezas éticas que hacer en cada uno de esos sitios.

[W] Aquellos de ustedes en todo el mundo que preguntan cuándo pueden, cuándo pueden registrarse será, esperamos que lo antes posible, nuestro equipo en ProQR. Somos un pequeño equipo y una pequeña biotecnología que está trabajando tan duro y tan rápido como sea posible.

[W] Trabajando lo más duro y rápido posible para abrir estos centros de ensayos clínicos, pero verá más y más información en nuestro sitio web en [www.piofl.com](http://www.piofl.com).

[W] Punto-com y tendrá información actualizada.

[W] Cada vez que se abre un nuevo sitio.

[W] Lo siento. Doren y 22.

[W] Consíguelo porque hay bastantes.

[W] Echemos un vistazo a algunos de estos.

[W] De acuerdo, esta es bastante buena, a la que puedo responder durante esto. es de david

[W] Te he pedido un gen. Estoy más afectado en este momento. Con RP como parte de mi enfermedad.

[W] Mi médico dice que no tengo X en 13.

[W] ¿Cómo puedo saber si el excelente 13 para mí?

[W] Mi resultado genético.

[W] Gracias.

[W] Bueno, David, esa es una pregunta fantástica.

[W] usted lo haría y tendríamos ProQR siempre pedirle que hable con su médico acerca de la investigación clínica.

[W] no es un doctor en medicina y esquema de Doreen. Ella no ha bajado de kilometraje. Entonces

[W] No puedo dar consejos médicos.

[W] Sin embargo, continúe la discusión. Si su médico le ha dicho que le falta la X en 13, esa es una información crucial.

[W] Y, ya sabes, las pruebas clínicas no son muy fáciles de leer si puedo ser honesto. Por lo tanto, siempre recomendaría si puede recibir asesoramiento genético, si está disponible, así como hablar con otros médicos para realmente

[W] Aún no. Desafortunadamente, no podemos dar consejos médicos directamente hoy.

[W] Está bien, echemos un vistazo.

[W] Doreen uno para ti de Brendan Brendan. ¿Hemos visto alguna reversión de la pérdida de la vista o de la capacidad de ver en la oscuridad?

[W] Entonces, durante el discurso, hemos visto estabilización.

[W] Creo que es la mejor manera de verlo.

[W] Hay un grado de variabilidad cuando las pruebas se realizan con algunos resultados ligeramente más altos y ligeramente más bajos.

[W] Así que siempre tenemos cuidado en el juicio para pedir. Por ejemplo, la bcva se repite varias veces para que estemos seguros de que

[W] Tome un valor representativo.

[W] Entonces, diría que hasta ahora. Estamos viendo estabilización con una inyección.

[W] Lo que no sabemos es qué pasará con las inyecciones múltiples.

[W] Así que esto es algo en lo que estamos realmente entusiasmados.

[W] hablando aquí. Próxima pregunta.

[W] Mirar.

[W] Hemos respondido muchas de estas.

[W] Durante uno para ti de Brendan Brendan. ¿Hemos visto alguna reversión de la pérdida de la vista o de la capacidad de ver en la oscuridad?

[W] Entonces, durante el discurso, hemos visto estabilización, creo que es la mejor manera de verlo.

[W] Hay un grado de variabilidad cuando las pruebas se realizan con algunos resultados ligeramente más altos y ligeramente más bajos.

[W] Así que siempre tenemos cuidado en el juicio para pedir. Por ejemplo, la bcva se repite varias veces para que estemos seguros de que

[W] Tome un valor representativo.

[W] Entonces, diría que hasta ahora. Estamos viendo estabilización con una inyección.

[W] Lo que no sabemos es qué pasará con las inyecciones múltiples.

[W] Así que esto es algo que nos entusiasma mucho. Sandy hablando aquí.

[W] Próxima pregunta.

[W] Mirar.

[W] Hemos respondido muchas de estas.

[W] Ah, ahora esta es una buena exclusión con este tratamiento.

[W] recibir otro tratamiento genético en el futuro y puedo tratar de abordar esa pregunta porque es una pregunta. Recibimos mucho. No hemos visto en el síndrome de Usher otros ensayos que hayan aparecido todavía.

[W] ¿Qué es muy útil con el RNA? ¿Se desgasta?

[W] Entonces, técnica o hipotéticamente, ¿debería decir que no debería excluirlo de ningún futuro basado en el DNA?

[W] Terapias, que creo que es el tipo de parte subyacente de la pregunta. Dicho esto, tengo la advertencia en lca10 y Doreen habló sobre nuestros avances con entusiasmo de los datos más o menos.

[W] Mint impide recibir otro tratamiento genético en el futuro y puedo tratar de abordar esa pregunta porque es una pregunta. Recibimos mucho.

[W] No hemos visto en el síndrome de Usher otros ensayos que hayan aparecido todavía.

[W] ¿Qué es muy útil con el RNA? ¿Se desgasta?

[W] técnica o hipotéticamente, debería decir que no debería excluirlo de futuras terapias basadas en el DNA, lo que creo que es el tipo de subyacente.

[W] Una parte mentirosa de la pregunta.

[W] Dicho esto, tengo la advertencia en lca10 y Doreen habló sobre nuestros avances y estamos entusiasmados con los datos prácticamente para fines de este mes.

[W] Esperamos en lca10.

[W] Hay un gen competidor o basado en DNA, y excluyeron a las personas que habían recibido una terapia de RNA en su ensayo.

[W] Así que realmente es de compañía a compañía. Hipotéticamente, nuestro fármaco se elimina por lavado, o

[W] Deja su sistema eventualmente, por lo que no debería haber ninguna razón por la que no pueda tener un tratamiento basado en DNA en el futuro.

[W] Si una se presenta como una pregunta un poco difícil, pero espero haberla respondido satisfactoriamente.

[W] Pregunta sobre el precio del medicamento para poder tomar este también.

[W] Así que esta es una pregunta común que recibimos. Como estoy seguro que puedes imaginar en este momento. El desarrollo clínico de ultevursen es demasiado pronto para que empecemos a pensar en el coste del tratamiento.

[W] Esto realmente dependerá de los datos y de la importancia de la medicina.

[W] Puede ser, pero desafortunadamente estamos demasiado temprano en el proceso para comenzar a pensar en eso.

[W] Correcto.

[W] Echemos un vistazo.

[W] Hemos respondido muchas de estas preguntas.

[W] Oye, Doreen, tal vez uno para ti de Ricardo.

[W] Agregar. Así que esto es que no le mostramos los datos aquí. Usted puede. Puedes mirarlo en el sitio web, en general. Vimos, vimos cierta estabilización. Están hasta, unos seis meses y luego

[W] Y luego parecía que era hora de otra inyección, que era parte de las razones. Queríamos poner una inyección. Cada seis meses para mantener el

[W] Gracias de rodillas, Andy hablando.

[W] De nuevo aquí.

[W] La siguiente pregunta de Virginia es muy buena.

[W] Cuantas inyecciones aguanta el lowa o es de por vida?

[W] ¿Ahora?

[W] Tendré una puñalada rápida.

[W] Realmente datos de seguridad.

[W] Seguimos esto con mucho, mucho cuidado y, de hecho, Sirius y Celeste serán la primera vez que hagamos múltiples inyecciones en el ojo, pero realmente estudiaremos la seguridad en torno a esto y solo veremos cómo puedo hacerlo.

[W] Se inyecciones. Doreen. ¿Tienes algo que agregar a eso?

[W] Animando hablando sólo para decir que en otras condiciones, la frecuencia de inyección.

[W] Así que usar la misma técnica para diferentes enfermedades puede ser tan frecuente como todos los meses. Es una técnica muy bien establecida.

[W] Estamos usando un bajo volumen de inyección con una aguja muy fina, solo por médicos expertos que saben cómo usar la técnica.

[W] Así es, es factible.

[W] Pienso continuar la Administración a largo plazo.

[W] Gracias, Doreen.

[W] Está debajo de aquí.

[W] Recibimos muchas preguntas sobre por qué, exon 13 y cuándo vendrán otros exones a continuación.

[W] Esa es una pregunta muy estándar que recibimos y intentaré responderla.

[W] Soy de la Universidad de Makin o del centro de retinol.

[W] Realmente impulsó esto y tenemos un seminario web maravilloso que recomendaría a cualquiera que vaya y vea en nuestro canal de YouTube, donde realmente profundizamos en la historia de exon 13 y, desde mi comprensión y la ciencia.

[W] Eso realmente ha llevado a la omisión de exón.

[W] Hemos visto que realmente es efectivo, la práctica y la omisión en sí desde una perspectiva científica no es para cada X porque, en última instancia, realmente se trata de crear un ujier funcional en proteínas y hemos visto ese éxito en

[W] Equipo y conectando a las 12 y 14.

[W] Así que esa es la diferencia.

[W] Recomendaría totalmente a cualquiera que vaya a nuestra página de YouTube y vea eso.

[W] es muy detallado Y tenemos algunos de los, acabamos de ganar un tipo maravilloso llamado Irwin y una bicicleta de la Universidad de Radley aquí en los Países Bajos, que en realidad era parte del equipo original que encontró el exon saltando a

[W] En este caso, y entra en una maravillosa descripción de la ciencia. Así que por favor revisa eso.

[W] Nos quedan 10 minutos Doreen. Así que echemos un vistazo a algunas preguntas más.

[W] Heather pregunta, ¿es esta la última fase de la investigación clínica?

[W] Doreen aquí, por lo general, los ensayos fundamentales que describimos deberían ser su última etapa para obtener el permiso de registro.

[W] Todavía estamos aprendiendo mucho sobre lo que esta molécula puede hacer.

[W] Entonces, esperaríamos continuar registrando la seguridad y puede haber otras preguntas.

Queremos abordar una pregunta.

[W] A menudo escuchamos, ¿podemos atender a los pacientes menores de 12 años?

[W] Y esto es algo que somos.

[W] Vamos a investigar para ver si podemos hacer eso.

[W] Entonces, esa puede ser una pregunta pronto, o puede ser una pregunta que solo podemos obtener permiso para probar y niños y niños más pequeños.

[W] Estupendo.

[W] Gracias. Doris, Anjou hablando aquí.

[W] Emmanuel, escuché que va a haber un estudio de fase tres en Europa y que el estudio tendrá un grupo simulado.

[W] Así que voy a empezar eso en el manual. Absolutamente. Esperamos abrir nuestras instalaciones europeas de ensayos clínicos Sirius y Celeste lo antes posible en 2022, y habrá una farsa en Doreen.

[W] Dos.

[W] Sí, tener un control es muy importante para obtener datos convincentes. Cuando se tiene una enfermedad que puede variar drásticamente de un paciente a otro.

[W] Es un, es un punto que no está en la mesa de negociación con el regulador.

[W] Realmente quieren asegurarse de proteger al paciente de que cualquier efecto que veamos sea un efecto verdadero y no un efecto casual. Y esta es la razón.

[W] Insisten en que tenemos un control y en esta situación, es un tejido de control falso.

[W] Hemos podido mantener los números asignados al grupo Sham lo más pequeños posible.

[W] Para mantener la validez del juicio.

[W] Y ese es Andy hablando aquí.

[W] Creo que eso es realmente clave. Como todos ustedes.

[W] Acompáñenos, el viaje de investigación clínica con nosotros es el hecho de que, ya sabe, tenemos que hacer ciertas cosas para asegurarnos de que los datos estén limpios y que mostremos el mayor efecto posible y que los brazos de control desempeñen un papel en eso como bien.

[W] Un requisito reglamentario en la mayoría de los casos.

[W] Echamos un vistazo.

[W] Esta es una pregunta de Sean, los resultados positivos del ProQR do muestran que hay una mejora de 8 letras sobre el control de 72 semanas.

[W] Esto se debe casi en su totalidad a la generación de escrituras de los no tratados. De hecho, hay aproximadamente ocho letras de deterioro, sin tratamiento, esto parece extremadamente rápido.

¿Considerarías la tasa de DJ que normalmente nos atiende a una persona?

[W] En teoría, no habrá mejora de Envision en la visión. Y el mejor de los casos es la estabilización en el tratado. Independientemente de la tasa de deterioro de los individuos.

[W] Durante, ¿te gusto?

[W] ¿Te gustaría tomar eso?

[W] Si.

[W] durante hablar.

[W] Gracias. Gracias. Shawn para la pregunta, la tasa de deterioro como parte de la enfermedad natural, Evolución.

[W] Eso es algo que compartimos, esa observación que parece relativamente rápida durante el transcurso del ensayo, tenga en cuenta que es una pequeña cantidad de pacientes.

[W] Son estudios fundamentales.

[W] Nos estamos moviendo hacia arriba.

[W] Habrá un total de aproximadamente 200 pacientes en el programa de la fase 2 3 para tratar de tener una idea clara entre los tratados y los no tratados.

[W] Entonces, para la primera parte, compartimos lo que tu tu estamos alineados con tu comentario sobre la segunda parte.

[W] ¿Podemos esperar algo mejor que quedRNAs?

[W] Abelización, una vez deteriorados los fotorreceptores. No se regeneran.

[W] Por eso buscamos preservar el máximo número de fotorreceptores y estar seguros de que podemos ayudar a su funcionamiento.

[W] Así que también hay un grado de aprendizaje,

[W] Y esto puede dar lugar a ligeras mejoras, pero, si se trata de una verdadera mejora sostenible, es demasiado pronto para saberlo.

[W] Por lo tanto, creo que la estabilización es nuestro objetivo inmediato y analizaremos con mucho cuidado para ver si podemos hacer algo mejor que eso.

[W] Genial.

[W] Gracias. ¿Andy está hablando?

[W] Genial.

[W] Dorio.

[W] Gracias.

[W] Lo cual es maravilloso ver una comunidad tan comprometida.

[W] Estamos tratando de pasar.

[W] También estoy traduciendo un poco para nuestros colegas de la comunidad latinoamericana en la línea.

[W] Vale la pena señalar. Esperamos tener sitios latinoamericanos.

[W] Actualmente estamos trabajando con Brasil.

[W] Sin embargo, vale la pena señalar que lo hacemos. Si es elegible para el estudio. En el pasado hemos permitido que la gente viaje.

[W] Bueno, y pagar el alojamiento, eso lo cubre todo el patrocinador, que somos nosotros para que el ensayo te lleve al centro correcto.

[W] También vale la pena señalar en este punto que realmente no puedo continuar sin agradecer a la Coalición Usher por toda su ayuda con esto.

[W] Acabamos de comenzar una nueva iniciativa con Usher Coalition y eso está muy cerca de mi corazón como la persona responsable dentro de ProQR para el alcance comunitario y ahora

[W] Utilizando el registro de Usher Usher.

[W] realmente poniéndome delante de todos ustedes.

[W] Como lo estamos haciendo hoy y realmente utilizando para ver si podemos llevarlo a nuestras pruebas.

[W] Vale la pena señalar.

[W] Proqr.

[W] Nos costó mucho reclutar miedo. Ensayos Lca10. Estas son condiciones raras.

[W] Esto no es una enfermedad del corazón ni nada por el estilo.

[W] Lo más rápido posible y trayendo estos.

[W] Esperamos medicinas para todos lo más rápido posible, ¿no?

[W] Dejaré de despotricar y buscaré más preguntas a medida que avanzamos en la recta final aquí.

[W] Doreen.

[W] Jim pregunta, veo que hay un sitio en los EE. UU.

[W] En Texas.

[W] ¿Habrán otros sitios alrededor de los Estados Unidos, incluido el área de DC? Creo que puedo aceptar a Jim. Esperamos tener varios sitios abiertos en los EE. UU., y como mencioné antes, cada sitio tiene un procedimiento de ética diferente y

[W] Todos los diferentes procesos de aprobación para que tengamos toda la ciencia y la seguridad aprobadas. Por ese lado clínico.

[W] Hacemos.

[W] Espero tener bastantes en Estados Unidos. Así que mire nuestra página web para actualizaciones, o puede contactarme directamente en información del paciente en ProQR.com. Y sé mucho de ti. Estoy reconociendo algunos nombres aquí. Haciendo preguntas, quien, quien nos ha escrito

[W] Gracias por contactarte.

[W] Lo es, estamos haciendo nuestro mejor esfuerzo para abrir los sitios lo más rápido posible. Pero algunos tardan un poco más que otros, lo cual es normal para la investigación clínica.

[W] Creo que hemos respondido muchas de estas.

[W] Si, creo.

[W] Muchos de ellos hacen preguntas médicas que lamentablemente no pueden responderlas directamente.

[W] Ojalá ese fuera el caso.

[W] Déjame comprobar que eso fue todo eso. Déjame revisar la función de chat para ver qué tenemos aquí.

[W] Tengan paciencia conmigo.

[W] Todos.

[W] Hay muchas preguntas, así que disculpas.

[W] Este es muy bueno.

[W] Christina pregunta, ¿hay algún plan para inyectar qr-421a a en el oído también para ver si puede afectar la pérdida auditiva?

[W] ¿Quieres que tome esa Doreen o salte? Salto. ¿De nuevo? Yo puedo.

[W] Puedo intentarlo.

[W] Entonces, en este momento realmente estamos concentrando ultevursen en el ojo.

[W] Algo que Daniel realmente ha reiterado.

[W] Entonces, nuestro enfoque realmente está en el ocular o en el yo específicamente. Recibo muchas veces esta pregunta porque tenemos un comité interno. Y uno de los miembros de nuestro comité interno también pregunta sobre el oído.

[W] Lo que sucederá en el futuro, pero por el momento, ProQR solo se concentra en el ojo y a través de eso. Así que no haremos la oreja también.

[W] Correcto.

[W] Consciente. Nos queda un minuto Crystal. ¿No vamos a llegar a todos estos desafortunados?

[W] Sí, posiblemente mucho descanso. Quieres unirse a una adquisición.

[W] Habla Krista.

[W] Sí, hemos recibido una cantidad abrumadora de preguntas.

[W] Esto es muy emocionante.

[W] Justo lo que necesitamos para ver este entusiasmo.

[W] Haré todo lo posible para capturar cualquier pregunta que no hayamos cubierto. Hubo muchas, ya sabes, repeticiones y todo, pero haré lo mejor que pueda.

[W] Para documentar eso y poder hacer un seguimiento con las personas.

[W] Sé que mucho de esto es apoyo individual y tipo individual de análisis de pruebas genéticas médicas y todo.

[W] Así que esto ha sido fantástico.

[W] Esto ha sido tan maravilloso.

[W] Quiero agradecerles a ustedes, Doreen y Andy nuevamente, por la presentación de hoy. Y compartiendo esta importante información.

[W] Will, esta es una conversación, ya sabes, entre los más de 200 de nosotros, ¿verdad?

[W] Póngase en contacto con la Coalición del síndrome de Usher, comuníquese con los centros de adquisición y los ensayos clínicos, todo eso, a medida que se implemente. ¿Estará disponible esa información?

[W] Pero la Coalición está aquí para ayudarlos a todos a tratar de averiguar si esto es algo que funciona para ustedes y cuáles podrían ser los próximos pasos.

[W] somos recurso. Por favor. No dude en comunicarse y se proporcionará una grabación de este seminario web con transcripciones.

[W] Ins todo eso también. Así que gracias, nuevamente a todos por ser parte de esto y hablaremos pronto.

[W] Que tengas un maravilloso resto de tu día y noche. Gracias.