

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

[W] OK.

[W] Olá pessoal.

[W] Veja, muitas pessoas passando, vamos dar a cada um um minuto para entrar.

[W] OK.

[W] Ainda estou vendo os números aumentarem.

[W] Temos um público muito grande hoje.

[W] Isso é muito emocionante.

[W] Vou dar mais 30 segundos ou mais para os participantes entrarem e, em seguida, examinaremos os recursos de acessibilidade disponíveis hoje antes de entrar na apresentação.

[W] Ok, então olá a todos.

[W] Eu sou Krista Vasi e sou o diretor executivo da Coalizão da Síndrome de Usher e dou as boas-vindas a todos vocês hoje para esta apresentação antes de fazer mais uma introdução e boas-vindas. Eu quero revisar os recursos de acessibilidade

[W] Todos têm acesso total.

[W] Temos tradução de idioma falado em espanhol, então você pode habilitar isso clicando no ícone de globo na barra de ferramentas inferior e selecionando espanhol.

[W] E se você selecionar espanhol, terá a opção de silenciar o áudio original em inglês.

[W] Vou dar ao nosso intérprete de espanhol um minuto para traduzir isso e permitir que os participantes ativem o áudio da tradução em espanhol.

[W] [...espanhol...]

[W] Ok, então esperamos que nossos amigos que falam espanhol estejam pulando para o áudio em espanhol agora.

[W] Aproveito esta oportunidade para lembrar a mim mesmo, bem como aos nossos outros oradores de hoje, que temos muitos tipos diferentes de intérpretes.

[W] Estou para me colocar em dia e também me identificar sempre que estou falando ou qualquer um dos outros apresentadores, é sempre bom se identificar primeiro e depois falar.

[W] Vamos chamar nossa atenção para outro grande recurso de acessibilidade hoje, que é o Wordly.

[W] Este é um sistema de tradução baseado em AI que traduzirá este webinar em mais de 20 idiomas e ativará isso

[W] Você pode clicar no link que fornecemos na caixa de bate-papo ou clicar na seta para baixo. Ao lado do botão ao vivo, no canto superior esquerdo da tela e selecione visualizar

[W] No serviço de transmissão ao vivo personalizado que abrirá uma guia do navegador. Isso tem a palavra mentira.

[W] O aplicativo Wordly que você pode selecionar seu idioma e ver as legendas em seu idioma.

[W] Você pode. Além disso, se houver opções para alguns idiomas para ouvir seu idioma.

[W] Ouça a Voz também. Então, espero que todos possam acessar a tradução do Wordly para quem estiver procurando.

[W] Para legendagem e inglês. Habilitamos a transcrição de transe ao vivo no Zoom.

[W] Portanto, selecione o ícone CC na parte inferior. À direita da tela na barra de menus do Zoom e você ativará as legendas.

[W] Você também pode selecionar as configurações de legenda e ajustar o tamanho de acordo com suas necessidades visuais.

[W] Vejamos, temos nossos intérpretes de ASL conosco hoje também.

[W] Temos Melissa e Dena e eu amo que Melissa e Dena acenem e se identifiquem.

[W] Olá.

[W] Então, qualquer um que use a interpretação de ASL hoje, pode marcar Melissa e Dena.

[W] Para que estejam sempre visíveis no seu dispositivo pessoal.

[W] Você fará isso clicando. Os três pontos na parte superior do vídeo e acho que abrangem as diferentes acessibilidades.

[W] O que é que foi isso?

[W] Bom é legendar, trabalhar e intérpretes são visíveis.

[W] Bom espanhol.

[W] Aprenda a língua espanhola.

[W] Os intérpretes estão prontos.

[W] sim.

[W] Estou vendo muitos sim.

[W] Maravilhoso e ótimo.

[W] Vou aproveitar este momento para apresentar rapidamente Brian.

[W] Ele é nosso suporte técnico.

[W] Se você tiver alguma dúvida ou qualquer problema durante o webinar, pode conversar diretamente com Brian e ele poderá ajudá-lo.

[W] Ok, então vamos ao show, Bem-vindo novamente. Todos antes de apresentar nossos convidados do ProQR Therapeutics, quero dizer algumas palavras ao mostrar, o

[W] Se contra deste momento.

[W] A Coalizão da Síndrome de Usher foi formada há mais de 10 anos com esse exato momento em mente.

[W] Nossa razão de existência é preencher a lacuna entre pesquisadores e aqueles que vivem com a síndrome de Usher.

[W] Em 2008. A Coalizão foi criada com a crença sincera de que poderíamos encontrar apoio e conectar todos com a síndrome de Usher.

[W] E então garantir que os ensaios clínicos para a síndrome de Usher sejam bem-sucedidos.

[W] Pessoas que vivem com esta condição.

[W] colocar simplesmente a pesquisa não pode acontecer. Sem você os tratamentos não podem ser desenvolvidos sem você. Os especialistas que vivem com a síndrome de Usher.

[W] É por isso que estou incrivelmente animado para esta apresentação hoje.

[W] Pela primeira vez.

[W] Há um ensaio clínico de estágio final para um tratamento para a síndrome de Usher.

[W] Este é um marco digno de ser reconhecido e celebrado.

[W] E enquanto este ensaio clínico específico é para uma população específica dentro de nossa comunidade mais ampla.

[W] Eu sei que este é apenas o começo de uma nova era na pesquisa da síndrome de Usher, na qual a Coalizão pode eventualmente reunir todos para todos os tipos de Usher.

[W] Com a pesquisa que irá beneficiá-los.

[W] Então, estou muito feliz em apresentar nosso orador hoje.

[W] Madeira Doreen, do ProQR. Ela recentemente se juntou à equipe e é a líder do projeto para os testes da síndrome de Usher sobre os quais você ouvirá falar hoje.

[W] Então, Doreen, eu vou passar para você.

[W] Obrigada.

[W] Obrigada.

[W] Passo Cris. Olá pessoal.

[W] Boa tarde.

[W] Boa noite.

[W] Meu nome é Doreen madeira.

[W] Enquanto continuamos esses dias de covid.

[W] Eu faço.

[W] Espero que estejam todos bem.

[W] Esta é minha primeira chance de conhecê-lo.

[W] Sou novo no ProQR, conhecia a Oftalmologia.

[W] Nesta discussão hoje.

[W] Eu queria agradecer à Coalizão Usher por sua maravilhosa parceria contínua com. Proq.

[W] Consideramos crucial ter Parceiros tão fortes nos responsabilizando, apoiando nosso desenvolvimento clínico e garantindo a sua voz.

[W] Você a comunidade é ouvida em alto e bom som no ProQR de hoje. Vou falar com você sobre o que nós como um pequeno.

[W] Biotech baseada na cidade holandesa de Leiden e em Cambridge, Massachusetts. O que estamos fazendo na ciência do RNA na síndrome de Usher especificamente e em outras condições genéticas oculares.

[W] Só para me apresentar.

[W] Meu papel é liderar o projeto qr-421a para nossas ações.

[W] Minha expertise é em conduzir o desenvolvimento de novos medicamentos, para trazê-los ao paciente. Pouco antes de compartilhar os slides. Eu quero dizer.

[W] Espero que meu sotaque escocês não seja muito forte.

[W] Não hesite em me dizer para ir mais devagar ou falar mais claramente.

[W] Então eu vou falar por cerca de 30 minutos, o que deve deixar muito tempo para suas perguntas.

[W] E acabei de verificar, você pode ver um slide.

[W] Sim obrigado.

[W] Estas são declarações prospectivas.

[W] Quem somos nós?

[W] ProQR Terapêutica?

[W] Terapias de RNA para indivíduos que têm uma doença ocular genética com a missão de parar a perda de visão, ou mesmo reverter alguns dos sintomas no campo das Terapias de RNA, ProQR.

[W] A vanguarda da entrega de terapias direcionadas para pessoas com doenças oculares genéticas, seja na retina ou no fundo do olho, como a síndrome de Usher, ou Fuchs e etéreo

[W] Distrofia, que é a córnea ou a frente do olho.

[W] Ironia, terapias, use antisense antisense tudo atrás. Nucleotídeos mais sobre o que é isso.

[W] mais tarde. E estes são projetados especificamente para corrigir a causa subjacente da doença no RNA de uma pessoa para interromper a progressão da doença ou até mesmo reverter os sintomas.

[W] Então RNA, estamos falando de ácido ribonucleico e é um componente essencial.

[W] De todas as células vivas.

[W] Tenho certeza que muitos de vocês já devem ter ouvido falar de RNA ou mRNA devido às vacinas Pfizer e modernas.

[W] Eu estava muito animado para receber a vacina para ver a ciência sendo lançada em uma grande população.

[W] Portanto, é muito diferente de como estamos aplicando a ciência.

[W] Ainda é legal.

[W] A ironia é usada para tradução.

[W] Este é o processo no qual as proteínas são criadas na célula.

[W] O próprio RNA é produzido a partir do DNA.

[W] Saber o que é DNA por causa de Jurassic Park.

[W] Sabemos o que acontece quando você mistura um DNA de sapo com um DNA de dinossauro e não é bonito e a terapia de ironia é projetada para corrigir a mutação no

[W] alguém com uma doença genética corrigindo o erro, o RNA pode então ser usado para criar a proteína que a célula precisa, eliminando a causa subjacente

[W] Doença.

[W] Basta avançar aqui.

[W] Então este slide conta a história da nossa empresa ProQR foi fundada em 2012 pelo seu atual CEO.

[W] Daniel de Boer alguns anos antes. Daniel e sua família foram confrontados com o diagnóstico de fibrose cística em seu filho recém-nascido.

[W] Este é um raro. Doença genética incurável Daniel.

[W] Ajuda de especialistas na área de desenvolvimento de medicamentos e ProQR formado para ajudar pessoas como seu filho.

[W] Quando surgiram tratamentos viáveis na fibrose cística, Daniel olhou para outras áreas desobstruídas.

[W] Alta necessidade não atendida.

[W] Neste Ponto de Reflexão para a empresa. Tínhamos iniciado o trabalho clínico e amaurose congênita tipo Leber, 10, ou LCA10 e, portanto, a mudança natural estava lá.

[W] O tempo ProQR mudou.

[W] seu foco em doenças oculares genéticas.

[W] Desde 2017, vimos o ProQR se concentrar e avançar na pesquisa clínica.

[W] Isso é pesquisa envolvendo.

[W] Convidar indivíduos que vivem com LCA10 com tipo de síndrome de Usher para uma retinite autossômica dominante.

[W] Pigmentosa e, mais recentemente, a distrofia corneana endotelial de Fuchs.

[W] Em janeiro do ano passado, inscrevemos totalmente nosso estudo fundamental de fase dois e três no LCA10, o que nos leva como empresa a uma nova era, onde

[W] Para levar cruz para as agências reguladoras, para FDA para Ema e Europa para emitir, carvão re no Reino Unido para registrar uma terapia em

[W] Você 22.

[W] Então, como Krista disse, é um momento muito emocionante para a comunidade e para nós como empresa.

[W] Estima-se que cinco milhões de pessoas no mundo vivem atualmente com doenças oculares genéticas, mas provavelmente é ainda mais devido à falta de conscientização sobre testes genéticos,

[W] E conhecimento público para a grande maioria dessas pessoas.

[W] Não há tratamento disponível para a perda de visão e a eventual cegueira que pode ocorrer.

[W] Acreditamos que a melhor maneira de cumprir essa missão é desenvolver terapias de RNA para doenças genéticas oculares.

[W] Construímos uma plataforma para desenvolver essas terapias altamente direcionadas para abordar a causa subjacente da doença e melhorar a visão.

[W] E com mais de 300 genes identificados que causam doenças oculares genéticas.

[W] Há uma imensa oportunidade de desenvolver terapias para pessoas necessitadas, por exemplo, LCA10 contrair doenças. Isso causa um erro uma mutação no

[W] Qualquer por causa da mutação e proteína essencial no I não pode funcionar ou está faltando, e isso leva à deterioração da luz, detectando células

[W] Gosto de detectar células na retina.

[W] então, no campo da RNA Therapeutics, a ProQR está na vanguarda da entrega de terapias direcionadas para pessoas com doenças oculares genéticas, nossas terapias de RNA, uso,

[W] Eu uso terapias de RNA, uso nucleotídeos anti-sentido que são especificamente projetados para corrigir a causa subjacente da doença na condição de uma pessoa e parar a doença

[W] Ou até mesmo para reverter os sintomas.

[W] Então, o que são esses, todos aqueles nucleotídeos anti-sentido, todos atrás, eles consistem em pequenos trechos de RNA sintético, que são quimicamente modificados para aumentar

[W] E sua absorção nas células.

[W] Esta técnica é uma abordagem estabelecida para tratar doenças genéticas e não são aprovadas.

[W] Terapias de RNA sendo usadas para tratar pacientes hoje.

[W] Então, como entregamos o tratamento?

[W] Para uma droga funcionar. Primeiro, ele tem que entrar no corpo.

[W] As terapias de RNA funcionam melhor. Se eles são entregues diretamente no órgão afetado, no caso de doenças da retina, quaisquer terapias podem ser injetadas no vítreo

[W] Essa é a cavidade que é preenchida com o fluido gelatinoso neste método de entrega.

[W] É conhecido como vitríolo introvertido, injeção ou IV T e é um dos procedimentos mais realizados para doenças oculares.

[W] O procedimento é realizado por médicos para condições comuns, como degeneração macular relacionada à idade para retinopatia diabética e oclusão da veia da retina.

[W] Portanto, IV T é diferente de injeção sub-retiniana. O método usado para terapia genética, que requer cirurgia delicada da retina.

[W] Qual o procedimento para entrevista?

[W] Injeção de trilha?

[W] todo o procedimento leva em torno de 10 a 15 minutos e é realizado apenas no consultório?

[W] Enquanto o paciente está sentado em uma cadeira?

[W] O olho está anestesiado para não doer.

[W] Uma vez que o olho está preparado.

[W] O indivíduo será solicitado a olhar em uma direção específica.

[W] Enquanto o medicamento é injetado na parte branca do olho com uma agulha muito fina.

[W] Então, como podemos testar nossas moléculas de RNA? Nossa Inovação? Equipe está sempre em busca de novas técnicas.

[W] Usamos pequenas biópsias de pele de indivíduos para criar modelos de copos ópticos vivos para testar nossos medicamentos e ver se temos o envolvimento do Target.

[W] mesmo antes de injetar no olho de alguém.

[W] Na ironia. E qual é a diferença do DNA para aqueles no webinar que podem não conseguir ver o gráfico?

[W] Deixe-me descrevê-lo na parte inferior.

[W] Temos uma dupla hélice de DNA, como eu. Imagine. A maioria de nós está familiarizada com isso acima do DNA.

[W] Temos um RNA de fita simples. Como dito anteriormente. Este RNA é usado para tradução.

[W] No processo pelo qual as proteínas são criadas em uma célula. O próprio RNA é produzido a partir do DNA em um processo chamado transcrição.

[W] Terapia de genes.

[W] Geralmente faz alterações permanentes na terapia gênica do DNA, atua diretamente no gene causador da doença e requer vetores

[W] As células alvo. A edição genética muda diretamente.

[W] O ADN.

[W] Em contraste, as terapias de RNA funcionam no nível do RNA.

[W] Qualquer um tem um efeito transitório e não altera o genoma.

[W] Assim, antisense há muito tempo, os nucleotídeos não precisam de vetores para acessar as células-alvo.

[W] Entraremos em mais dois. Isso mais tarde.

[W] Então, obrigado por ser paciente comigo para chegar à parte da palestra que eu acho que vai interessar a maioria de vocês.

[W] Nossa pesquisa em andamento para nós a uma retinite Pigmentosa mediada e síndrome de Usher.

[W] QR-421a.

[W] Esse é o nome do tratamento.

[W] É uma investigação.

[W] Terapia de RNA projetada para pular o Exon 13 e o RNA com o objetivo de impedir a perda de visão.

[W] É muito específico para o Exon 13.

[W] Então isso é realmente ciência genética.

[W] Quero agradecer aos nossos parceiros da fundação que combate a cegueira, que realmente apoiaram financeiramente nosso programa.

[W] então um pouco sobre a síndrome de assegurar e o progresso, estamos fazendo

[W] Nós conversamos sobre a ciência. E agora, quero falar sobre as notícias mais recentes de março. Ano passado.

[W] Temos o prazer de anunciar os resultados positivos do nosso programa de síndrome de Usher e retinite em estudo clínico, denominado Stellar, que atendeu a todos os seus objetivos declarados.

[W] Isso marca um marco crucial em nossa pesquisa em andamento na terapia de RNA experimental.

[W] Qr-421a um nome cativante.

[W] Eu sei que parece parar a perda de visão em pessoas com uma mutação em uma parte específica do arco de um gene, a parte chamada Exon 13.

[W] Qr-421a, ele funciona ligando-se à seção mutada e exclui o Exon 13 do RNA.

[W] Ping.

[W] As células da retina podem então produzir uma corrida ligeiramente mais curta, mas funcional, para uma proteína. O ensaio clínico Stellar foi para ver se isso poderia parar ou reverter a visão

[W] Síndrome certo.

[W] Então, esta é uma imagem do desenho do ensaio clínico. As diferentes fases do desenvolvimento clínico são todas sobre a coleta de dados e insights.

[W] Vale a pena notar que este desenho consistiu em três doses diferentes testadas em 20 participantes de ensaios clínicos com um período de acompanhamento de dois anos.

[W] Os participantes foram randomizados para receber qr-421a ou Sean em um olho e o outro olho foi deixado.

[W] não tratada como controle.

[W] Para aqueles Sharm. Randomize os participantes e fui submetido a uma injeção real introvertida fictícia.

[W] Portanto, não houve penetração do olho.

[W] e o Sham. O braço é usado apenas para fins de mascaramento.

[W] Então, o que quero dizer com mascaramento?

[W] É uma forma de se esconder.

[W] Que tratamento você é o paciente recebeu para reduzir o viés.

[W] Dadas as diferentes taxas de ganho de progressão da doença entre os participantes e o pequeno número de especialistas participantes. Acredite que o melhor controle é o não tratado,

[W] Estou no mesmo julgamento, participante.

[W] Portanto, o objetivo deste estudo de dose única foi identificar para fins de registro. O que aqueles que intervalo de dosagem com base no início?

[W] A durabilidade e o declínio do efeito e a população-alvo para o próximo estágio de desenvolvimento clínico?

[W] E a boa notícia é que o estudo atendeu a todos os objetivos declarados.

[W] Também encontramos duas populações precocemente. Progressão moderada da doença e progressão avançada da doença em. Isso é importante e eu vou tocar nisso mais tarde.

[W] Então aqui está o resumo do que vimos neste teste Stellar. Foi um ensaio clínico de fase 1, dois para testar se é o

[W] Para ensaio clínico para testar, se é a molécula qr-421a é segura e o efeito na visão.

[W] O medicamento foi observado como seguro e bem tolerado sem gravidade.

[W] Eventos Adversos relatados.

[W] A prova clínica de conceito foi estabelecida na acuidade visual melhor corrigida.

[W] isso é bcva ou você pode conhecê-lo. Como o gráfico de olho também na perimetria estática, que é usada para medir, retinol, sensibilidade.

[W] E estes foram apoiados por importantes pontos finais secundários, como

[W] OCT Imaging, que analisa a retina, a espessura e a microperimetria.

[W] Além disso, coletamos as principais informações para levar o programa adiante, incluindo o registro adequado, e apontamos as portas.

[W] O intervalo de dosagem a ser usado e a população de estudo ideal foram identificados para o próximo estudo.

[W] Então, estou feliz em dizer que nos propusemos o desafio de começar.

[W] Pivotal Studies até o final do ano passado.

[W] Um estava na população de pacientes precoce a moderado, um no grupo de doença avançada.

[W] Então, tivemos um desafio difícil para começar até o final do ano, e estou muito satisfeito em dizer que os primeiros pacientes já foram dosados em dezembro.

[W] Vimos um benefício em todos os pacientes tratados no estudo Stellar.

[W] que incluiu participantes do estudo com perda de visão avançada, bem como com perda de visão precoce a moderada.

[W] E essa definição entre os dois grupos será importante para as próximas etapas da pesquisa.

[W] Temos um blog completo e um briefing da comunidade em nosso site.

[W] Se as pessoas estiverem interessadas em ler mais.

[W] Nenhum, visto Krista nos contou que muita gente queria saber sobre riscos e segurança.

[W] Esta é uma parte crítica da pesquisa clínica.

[W] Disse-nos que muitas pessoas queriam saber sobre riscos e segurança.

[W] Esta é uma parte crítica da pesquisa clínica.

[W] Vale a pena notar que há sempre um risco em realizar esse tipo de estudo e espero que, analisando os aspectos de segurança, possamos mostrar como fazemos esses ensaios clínicos

[W] Tornamos esses ensaios clínicos o mais seguros possível.

[W] Levamos a segurança muito a sério e continuamos a trabalhar com autoridades reguladoras e conselhos de ética para garantir que os participantes sejam atendidos durante todo o estudo.

[W] Peço desculpas.

[W] Acho que perdemos a conexão por um momento.

[W] sim.

[W] Certo, um momento.

[W] A segurança foi uma grande parte deste ensaio clínico, o objetivo primário do estudo foi focado na segurança.

[W] Qr-421a foi observado como seguro e bem tolerado, com mais de 3700 participantes, dias de acompanhamento.

[W] Isso equivale a anos de acompanhamento neste estudo.

[W] Importante, não, sério. Eventos adversos foram observados e não houve casos de inflamação.

[W] No entanto, um paciente trabalha arduamente de agravamento de catarata pré-existente. Em ambos os olhos. Ambos são considerados não relacionados ao tratamento, sabe-se que a catarata ocorre como parte do tratamento.

[W] De cataratas pré-existentes em ambos os olhos.

[W] Ambos são considerados não relacionados ao tratamento, sabe-se que a catarata ocorre como parte do histórico da síndrome de Usher e ocorre em mais de trinta por cento dos pacientes.

[W] Nenhuma nova catarata foi relatada no estudo.

[W] Macular cistóide, edema ou c, ee está frequentemente associado à retinite. Pigmentosa, e faz parte da história natural da doença em mais de 30 por cento

[W] A da doença e mais de 30% dos pacientes.

[W] Geralmente é gerenciado adequadamente com colírios tópicos.

[W] Não, novos casos de EMC ocorreram durante o estudo.

[W] No entanto, um paciente que já apresentava EMC, foi incluído no grupo, recebendo dose de 200 microgramas, a EMC progrediu durante o estudo, mas foi

[W] Sorria para não gerenciado com terapia padrão de atendimento.

[W] Portanto, estamos satisfeitos em ver que o qr-421a mostra um perfil tão seguro e bem tolerado neste estudo.

[W] Mas o que significa um ensaio clínico bem-sucedido?

[W] Além do perfil de segurança.

[W] Também analisamos a acuidade visual melhor corrigida e o que vimos foi estabilização em todos os olhos tratados.

[W] Agora. Isso é digno de nota.

[W] Foram apenas 11 injeções.

[W] Estabilização da visão foi observada nos tratados. I versus declínio no não tratado.

[W] Eu em todos os pacientes.

[W] Então vimos uma deterioração do I não tratado em consonância com a História Natural.

[W] Cada um havia um benefício de seis letras no gráfico de olho.

[W] E na semana 72. Foi um benefício de oito letras mostrando um efeito sustentado consistente com a meia-vida longa do qr-421a.

[W] Todos os participantes tratados tinham uma ampla gama de perda de visão ou acuidade visual.

[W] Portanto, ver uma estabilização como essa foi ótimo, mas aprendemos algo mais.

[W] Que a mudança na resposta b.c., A bcva é impulsionada pela população da doença avançada.

[W] Agora, por que isso é importante?

[W] Estamos começando a aprender o que podemos fazer em nossa próxima fase de desenvolvimento clínico.

[W] Agora, vimos a estabilização no olho tratado após uma única dose.

[W] Focando na população avançada, o benefício no olho. Gráfico foi uma mudança média de 9,3 letras.

[W] Quero dizer, diferença de 13 letras na semana 72, o endpoint da semana 72 é, portanto, o momento em que analisaremos o endpoint primário em nossa fase 3.

[W] Mi na população avançada, um estudo chamado Sirius.

[W] Portanto, identificamos endpoints para propor aos órgãos reguladores, que eles podem considerar para um novo medicamento, para a aprovação do produto.

[W] Estes são bcva para a população avançada e para a população moderada inicial.

[W] Em vez disso, estamos olhando para a perimetria estática.

[W] Vimos os participantes responderem a desfechos ou medidas relacionadas ao estágio inicial da doença.

[W] E vimos também que as diferentes extremidades se movem em concordância umas com as outras.

[W] Portanto, neste teste Stellar, coletamos todas as informações.

[W] Precisamos avançar para o estágio crucial, chegando mais perto de registrar esse medicamento para os pacientes.

[W] Então, neste slide, mostramos o desenho do estudo para Sirius.

[W] Isso ocorre em pacientes avançados.

[W] e se emitido submetido a protocolos para ensaios de Fase 2, 3,

[W] a FDA concordou com nosso intervalo de dosagem de seis meses proposto e confirmou isso, dado o perfil de segurança. Não temos que fazer mais variação de dose.

[W] Portanto, este primeiro estudo chamado Sirius se concentrará na população avançada e usará o bcva como o endpoint primário.

[W] O segundo ensaio que mostrarei em um minuto é semelhante, mas será na população precoce a moderada e usará a perimetria estática como

[W] E use a perimetria estática como o endpoint primário.

[W] Essas duas populações tinham características diferentes.

[W] Então decidimos estruturá-lo. Como dois estudos paralelos que nos darão dois chutes a gol, para registro.

[W] Portanto, o estudo sério está usando o padrão-ouro do bcva, pois sabemos que apenas pessoas com doença avançada podem responder a esse ponto final.

[W] Incluirá apenas pacientes que apresentem alguma perda de acuidade visual na linha de base.

[W] Os pacientes deste estudo terão uma acuidade visual de 20/40 ou pior, o que significa que eles podem ler tudo, exceto as linhas menores no gráfico de olhos participantes do ensaio clínico

[W] Os braços receberão uma de duas doses diferentes de qr-421a. A cada seis meses, o desfecho primário aqui, bcva e dado o tamanho do efeito observado em

[W] E prevemos avaliar o desfecho após 18 meses de acompanhamento.

[W] O objetivo será estabilizar o bcva nos olhos tratados com qr-421a. Embora se possa esperar que o braço de controle se deteriore e se alinhe com o

[W] A doença.

[W] Como o bcva é o padrão ouro em Oftalmologia, o desenvolvimento de medicamentos. Uma leitura de risco de benefício positivo no bcva apoiaria, qr-421a

[W] Para pacientes conosco para uma mutação do Exon 13.

[W] Então, em paralelo, isso será muito semelhante. Mas este é o estudo de Celeste em pacientes precoces a moderados.

[W] E aqui, o desfecho primário é a perimetria estática, medida aos 12 meses, vinte pontos.

[W] Um dos principais endpoints secundários será um curso de Mobilidade e talvez OCT também.

[W] Esta é a tomografia de coerência óptica olhando para a espessura da retina.

[W] O objetivo aqui será ver uma melhoria na perimetria estática de acordo com os dados de limite de aprovação regulatória do teste Stellar.

[W] Portanto, para ambos os estudos, estamos planejando a leitura primária após a repetição da dosagem, mas podemos considerar ajustar o tempo ou adicionar uma análise intermediária.

[W] Assim que tivermos uma linha, esses planos.

[W] Com os reguladores.

[W] Então agora eu sei algo emocionante.

[W] Para um nome para a nossa molécula.

[W] É um prazer informá-lo.

[W] É um pouco exclusivo.

[W] Esta é uma notícia recente que a Organização Mundial da Saúde aprovou ultevussen.

[W] Isso é tudo para verson como o nome desta molécula. O que acontece é

[W] é que fornecemos sugestões para este nome proprietário prioritário não proprietário internacional e quem dá sua aprovação.

[W] Muito animado para que você conheça este marco.

[W] Está nos deixando um passo mais perto de se tornar um produto real.

[W] Então, para encerrar, eu gostaria de dizer um enorme.

[W] obrigado ao autor, assegure a coalizão a Krista e Nancy por convidar o ProQR para vir junto e também a todos vocês por ouvirem e virem nesta jornada conosco na ciência genômica.

[W] Fico feliz em tentar responder a quaisquer perguntas que você possa ter.

[W] Obrigada.

[W] Muito obrigado história.

[W] Aqui é Krista Vasi falando.

[W] E sim, temos muitas perguntas chegando e eu sei que você tem seu colega Andrew Bolan do ProQR com você também.

[W] Então, nós temos muita expertise aqui para sentir essas questões.

[W] Andy, dê um pequeno aceno.

[W] Ali está ele. Tudo bem, então

[W] Vamos ver.

[W] Eu sei que Andy você estava observando as perguntas enquanto elas vinham e talvez seja melhor. Se você pegar seu pedido, seu pedido preferido. Sim, absolutamente.

[W] Oi, é Heidi, boliche falando aqui.

[W] É lindo estar com você hoje.

[W] Acho que eu e Doreen podemos resolver essas questões.

[W] Então, podemos fazer uma rápida sessão de perguntas e respostas, à medida que analisamos muitas das perguntas.

[W] Esperamos ter respondido no, na apresentação, mas podemos.

[W] Através deles passo a passo. Então, a primeira que temos Doreen é Usher 2A.

[W] Meu oftalmologista não fará o teste genético para confirmar. Que outras opções eu tenho vivendo em Western, Carolina do Norte.

[W] Bem, eu vou pegar esse.

[W] Mike, adorável.

[W] Muito obrigado história.

[W] Esta é a Krista. Vazhi, falando.

[W] E sim, temos muitas perguntas chegando e eu sei que você tem seu colega Andrew Bolan do ProQR com você também.

[W] Então, nós temos muita expertise aqui para sentir essas questões.

[W] Andy, dê um pequeno aceno.

[W] Ali está ele. Tudo bem, então

[W] Vamos ver.

[W] Eu sei que Andy você estava observando as perguntas à medida que elas vinham e seria melhor se você pegasse seu pedido do jeito que preferir.

[W] Sim, absolutamente. Oi, é Abby, boliche falando aqui.

[W] É lindo estar com você hoje.

[W] Acho que eu e Doreen podemos resolver essas questões.

[W] Então, podemos fazer uma rápida sessão de perguntas e respostas, à medida que analisamos muitas das perguntas.

[W] Esperamos ter respondido no, na apresentação, mas podemos.

[W] Através deles passo a passo. Então, a primeira que temos Doreen é Usher 2A.

[W] Meu oftalmologista não fará o teste genético para confirmar. Que outras opções eu tenho vivendo em Western, Carolina do Norte.

[W] Bem, eu vou pegar esse.

[W] Mike, adorável.

[W] Obrigado pela pergunta.

[W] A fundação que luta contra a cegueira faz um maravilhoso programa de testes genéticos de Acesso Aberto. E realmente, estou um pouco chocada ao saber que seu médico não vai me ajudar a dar o próximo passo como Doreen.

[W] Datado é um passo crucial na medicina genômica que estamos desenvolvendo que você precisa conhecer seu gene genético. Então, eu provavelmente procuraria outro médico e realmente tentaria apresentar a base para combater a cegueira

[W] Ação combatendo a cegueira, faz um Open maravilhoso. Acesse o programa de testes genéticos. E realmente, estou um pouco chocada ao saber que seu médico não vai me ajudar a dar o próximo passo, como Doreen apresentou.

[W] É um passo crucial na medicina genômica.

[W] que estamos desenvolvendo, que você precisa conhecer seu gene genético.

[W] Então eu provavelmente procuraria outro médico e realmente tentaria apresentar a base para combater a cegueira. Teste genético gratuito.

[W] A próxima pergunta é Doreen.

[W] Qual é o nosso candidato ideal para o ensaio clínico?

[W] acho que você meio que falou um pouco sobre os critérios de elegibilidade. Mas você tem mais alguma coisa a acrescentar a isso?

[W] Olá, aqui é Doreen.

[W] Sim, o importante é que ambos tenham sido diagnosticados clinicamente e que tenham um perfil genérico que confirme esse tipo de nós, Chewie.

[W] Excelente, 13 mutação.

[W] Isso é absolutamente crítico porque o ultevursen é o alvo.

[W] para essa subpopulação.

[W] Outras coisas que podem ser de interesse saber é a idade.

[W] Começamos olhando apenas para a população adulta e graças ao feedback da comunidade. Rapidamente percebemos que precisávamos reduzir isso.

[W] Portanto, agora, se você tem 12 anos ou mais, pode ser elegível para este teste.

[W] Isso é ótimo.

[W] Obrigada.

[W] A próxima pergunta de Mark tailed é que tipo de teste foi feito em animais, o que está correto.

[W] E você sabe, temos muitas informações em nosso site, se você quiser acompanhar isso, mas fizemos todos os elementos de segurança que precisávamos para chegar aos testes em humanos e o Stellar foi o primeiro em estudo em humanos.

[W] Isso durante de Brian, o quê?

[W] porcentagem de nós que são alvos do tratamento do Exon 13

[W] Oi, Doreen, de novo.

[W] É uma porcentagem pequena.

[W] É verdade.

[W] Esperamos poder começar com essa mutação, mas prevemos isso no futuro desenvolvimento de medicamentos.

[W] Veremos diferentes mutações.

[W] Não sei um valor exato da porcentagem, mas estamos levando um pouco de cada vez. Trazendo trazendo o que podemos.

[W] Ela os pacientes e eu vou acrescentar a isso. Você sabe, a técnica específica do exon 30 é Andrew Andy falando, o específico ou Krista.

[W] Você quer entrar?

[W] Temos nosso intérprete de volta?

[W] costas? Não. Oh, bem, não ocorre intérprete. Então, apenas um, um segundo.

[W] Peça desculpas.

[W] Dina está de volta agora, Melissa.

[W] Você sabe o que é isso?

[W] é? Acho que Melissa está assumindo. OK.

[W] Boa.

[W] Ok, arenoso falando aqui durante explicado muito bem, você sabe, o Exon 13 pulando em sua especificidade é que estamos tentando criar um Usher funcional em proteína. E assim se

[W] Cerca de treze doze e quatorze podem se unir e criar aquele Usher Usher menor, mas funcional, em proteína e é isso que o desenvolvimento clínico está tentando ver se isso funciona.

[W] Próxima pergunta, Doreen.

[W] Você disse que o próximo ensaio clínico levará dois anos e tudo isso.

[W] Já fizemos dois anos também.

[W] Eu Doreen falando.

[W] Então, no primeiro ensaio clínico, acompanhamos os pacientes por dois anos.

[W] anos. Então você ouviu corretamente são as fases dois, três ensaios que acabaram de começar. Estaremos acompanhando os pacientes novamente por pelo menos dois anos.

[W] Além disso, ainda não mencionamos isso.

[W] Estamos fornecendo Acesso Aberto por meio de um estudo de extensão.

[W] Para que os pacientes que já foram tratados no primeiro estudo possam continuar recebendo tratamento até que o tratamento esteja disponível para todos.

[W] Obrigada.

[W] É só falar aqui, Philly passa a figura.

[W] Três do PDF, o ProQR publicou com os resultados do estudo Stellar ao final de quarenta e oito semanas, o benefício para os não tratados.

[W] Fiquei mais alto que o tratado.

[W] eu como pode ser isso?

[W] Eu posso ter uma facada nisso. Então, vimos que o medicamento se desgasta depois de um tempo e isso foi uma peça crucial para entender em nosso desenvolvimento porque, na verdade, mostrou que o medicamento de RNA que desenvolvemos não é permanente.

[W] Não está mudando seu DNA.

[W] Então você terá que tê-lo de novo e de novo e essa é uma das peças críticas de informação. Reunimos para nossos estudos de fase três Sirius e Celeste.

[W] A próxima pergunta, desça.

[W] Além desses poucos.

[W] Qual é o significado de apenas?

[W] Essa é da Mônica.

[W] Obrigado Mônica. Qual é o significado de medir apenas o bcva em relação aos pacientes Usher, que podem não ter problemas de acuidade visual, mas sim sensibilidade à luz e visão de túnel.

[W] De que? Compreendo. Nossa visão periférica pfx antes da visão central. O medicamento só funciona para estabilizar a perda de visão central.

[W] Eu posso ter uma facada.

[W] Oi Doreen.

[W] Você gostaria de ir?

[W] Eu durante a fala.

[W] Então, estamos olhando para pacientes com doença em estágio inicial que estão começando a ver uma redução na visão periférica.

[W] Vamos ficando cada vez mais estreitos para que comecemos a ter um impacto na acuidade visual.

[W] Portanto, o produto deve funcionar para ambas as populações porque o problema é o mesmo problema.

[W] Estamos reparando substituindo a proteína necessária para que os fotorreceptores funcionem.

[W] Então estamos medindo parâmetros diferentes porque os pacientes estão em um estágio diferente da doença.

[W] Devo acrescentar que mencionamos os parâmetros principais, o endpoint primário, mas mediremos toda uma gama de endpoints secundários para descobrir o que está acontecendo.

[W] Obrigada.

[W] Torian é Andy falando aqui. Próxima questão. Mas antes de fazermos isso, algumas perguntas estão surgindo.

[W] Como as pessoas se inscrevem para ensaios clínicos. E estamos extremamente empolgados e há muito entusiasmo que o desenvolvimento clínico leva tempos diferentes em diferentes geografias.

[W] Planejamos ter sites em todo o mundo a partir dos Estados Unidos.

[W] Esperamos Canadá Brasil e muitos países da Europa também.

[W] Mas cada país tem um cronograma muito diferente para abrir um centro clínico.

[W] Temos diferentes peças éticas para fazer em cada um desses locais.

[W] Aqueles de vocês ao redor do mundo perguntando quando podem, quando puder se inscrever será, esperamos o mais rápido possível, nossa equipe no ProQR. Somos uma pequena equipe e uma pequena biotecnologia que está trabalhando o mais duro e rápido possível.

[W] Trabalhando com afinco e o mais rápido possível para abrir esses centros de ensaios clínicos, mas você verá mais e mais informações chegando ao nosso site em www.piofl.com.

[W] Dot-com e terá informações atualizadas.

[W] Cada vez que um novo site é aberto.

[W] Desculpe. Doreen e 22.

[W] Pegue esse porque há muito poucos.

[W] Vamos dar uma olhada em alguns destes.

[W] Ok, isso é muito bom, que eu posso responder durante este. É de Davi.

[W] Eu lhe pedi um gene. Estou mais afetado neste momento. Com RP como parte da minha doença.

[W] Meu médico diz que eu não tenho X no 13.

[W] Como posso saber se o 13 excelente para mim?

[W] Meu resultado genético.

[W] Obrigada.

[W] Bem, David, essa é uma pergunta fantástica.

[W] você gostaria e teríamos ProQR sempre pedir para você conversar com seu médico sobre pesquisa clínica.

[W] não um médico e esboço de Doreen. Ela não está quilométrica. assim

[W] Não pode dar conselhos médicos.

[W] No entanto, continue a discussão. Se o seu médico disse que você está perdendo o X em 13, essa é uma informação crucial.

[W] E, você sabe, os testes clínicos não são muito fáceis de ler, se posso ser honesto. Então, eu sempre recomendo se você puder ter aconselhamento genético, se estiver disponível, além de conversar com outros médicos para realmente

[W] Ainda não. Infelizmente, não podemos dar conselhos médicos diretamente hoje.

[W] Tudo bem, vamos dar uma olhada.

[W] Doreen um para você de Brendan Brendan. Vimos alguma reversão da perda de visão ou da capacidade de ver no escuro?

[W] Então, durante a fala, vimos estabilização.

[W] Acho que é a melhor maneira de ver.

[W] Existe um grau de variabilidade quando os testes são realizados com alguns resultados de teste ligeiramente superiores e ligeiramente inferiores.

[W] Então, sempre temos o cuidado de pedir no julgamento. Por exemplo, o bcva é repetido várias vezes para que tenhamos certeza de que

[W] Tome um valor representativo.

[W] Então, eu diria isso até agora. Estamos vendo estabilização com uma injeção.

[W] O que não sabemos é o que acontecerá com múltiplas injeções.

[W] Então, isso é algo em que estamos realmente empolgados.

[W] falando aqui. Próxima questão.

[W] Veja.

[W] Já respondemos a muitas delas.

[W] Durante um para você de Brendan Brendan. Vimos alguma reversão da perda de visão ou da capacidade de ver no escuro?

[W] Então, durante a palestra, vimos estabilização, acho que é a melhor maneira de ver isso.

[W] Existe um grau de variabilidade quando os testes são realizados com alguns resultados de teste ligeiramente superiores e ligeiramente inferiores.

[W] Então, sempre temos o cuidado de pedir no julgamento. Por exemplo, o bcva é repetido várias vezes para que tenhamos certeza de que

[W] Tome um valor representativo.

[W] Então, eu diria isso até agora. Estamos vendo estabilização com uma injeção.

[W] O que não sabemos é o que acontecerá com múltiplas injeções.

[W] Então, isso é algo que estamos realmente empolgados com isso. Sandy falando aqui.

[W] Próxima questão.

[W] Veja.

[W] Já respondemos a muitos deles.

[W] Ah, agora esta é uma boa com esse tratamento impedido.

[W] receber outro tratamento genético no futuro e posso tentar resolver essa questão porque é uma questão. Recebemos muito. Não vimos na síndrome de Usher outros ensaios que surgiram ainda.

[W] O que é muito útil com RNA? Será que se desgasta.

[W] Então, tecnicamente ou hipoteticamente, devo dizer que isso não deve impedir você de qualquer futuro baseado em DNA?

[W] Terapias, que eu acho que é o tipo de parte subjacente da questão. Dito isto, tenho a ressalva em LCA10 e Doreen falou sobre nossos avanços com entusiasmo de dados praticamente

[W] Mint impede outro tratamento genético no futuro e posso tentar resolver essa questão porque é uma questão. Recebemos muito.

[W] Não vimos na síndrome de Usher outros ensaios que surgiram ainda.

[W] O que é muito útil com RNA? Será que se desgasta.

[W] tecnicamente ou hipoteticamente, devo dizer que isso não deve impedi-lo de quaisquer futuras terapias baseadas em DNA, o que eu acho que é o tipo de subjacente.

[W] Uma parte mentirosa da pergunta.

[W] Dito isto, tenho a ressalva em LCA10 e Doreen falou sobre nossos avanços e estamos entusiasmados com os dados até o final deste mês.

[W] Esperamos em LCA10.

[W] Existe um gene concorrente ou baseado em DNA, e eles excluíram indivíduos que tiveram uma terapia de RNA em seu teste.

[W] Então realmente é de empresa para empresa. Hipoteticamente, nossa droga desaparece, ou

[W] Deixa seu sistema eventualmente, então não deve haver nenhuma razão pela qual você não possa ter um tratamento baseado em DNA no futuro.

[W] Se alguma aparecer como uma pergunta um pouco difícil, mas espero ter respondido satisfatoriamente.

[W] Pergunta sobre o preço do medicamento para que eu possa tomar este também.

[W] Então essa é uma pergunta comum que recebemos. Como tenho certeza que você pode imaginar no momento. O desenvolvimento clínico do ultevursen é muito cedo para começarmos a pensar no custo do tratamento.

[W] Isso realmente se deve aos dados e quão significativos são os medicamentos.

[W] Pode ser, mas infelizmente estamos muito adiantados no processo para sequer começar a pensar sobre isso.

[W] Direito.

[W] Vamos apenas dar uma olhada.

[W] Nós respondemos muitas dessas perguntas.

[W] Ei, Doreen, talvez um para você do Ricardo.

[W] Adicionar. Então é isso que não mostramos os dados aqui. Você pode. Você pode ver isso no site, em geral. Vimos, vimos alguma estabilização. Eles estão até, cerca de seis meses e depois

[W] E então parecia que era hora de outra injeção que era parte dos motivos. Queríamos dar uma injeção. A cada seis meses para manter o

[W] Obrigado de joelhos, Andy falando.

[W] Novamente aqui.

[W] A próxima pergunta de Virginia é muito boa.

[W] Quantas injeções o IOWA aguenta ou é para toda a vida?

[W] Agora?

[W] Vou dar uma facada rápida.

[W] Realmente dados de segurança.

[W] Seguimos isso com muito, muito cuidado e, na verdade, Sirius e Celeste serão a primeira vez que faremos várias injeções no olho, mas realmente estaremos estudando a segurança em torno disso e apenas vendo como posso fazer isso.

[W] É injeções. Doreen. Você tem algo a acrescentar a isso?

[W] Torcendo falando só para dizer que em outras condições, a frequência da injeção.

[W] Portanto, usar a mesma técnica para diferentes doenças pode ser tão frequente quanto todos os meses. É uma técnica muito bem estabelecida.

[W] Estamos usando um baixo volume de injeção com uma agulha muito fina, somente por Médicos habilidosos que sabem usar a técnica.

[W] Assim é, é viável.

[W] Eu acho que continuar a administração de longo prazo.

[W] Obrigado, Doreen.

[W] Está aqui embaixo.

[W] Estamos recebendo muitas perguntas sobre o porquê, exon 13 e quando outros exons virão a seguir.

[W] Essa é uma pergunta muito comum que recebemos e eu vou tentar isso.

[W] Estou Makin University ou sobre o centro de retinol.

[W] Isso realmente impulsionou isso e temos um webinar maravilhoso que eu recomendaria a qualquer pessoa para assistir no nosso canal do YouTube, onde realmente entramos na história do exon 13 e, você sabe, do meu entendimento e da ciência

[W] Isso realmente levou ao salto do Exon.

[W] Vimos que a prática é realmente eficaz e o salto em si de uma perspectiva científica não é para todos os X, porque, em última análise, trata-se de criar um precursor funcional de proteína e vimos esse sucesso em

[W] Equipe e conexão em 12 e 14.

[W] Então essa é a diferença.

[W] Eu recomendaria totalmente a qualquer pessoa ir à nossa página do YouTube e assistir a isso.

[W] É muito detalhado. E temos alguns dos, acabamos de ganhar um cara maravilhoso chamado Irwin e uma bicicleta de Radley da Universidade aqui na Holanda, que na verdade fazia parte da equipe original que encontrou o Exon pulando para

[W] Neste caso, e ele entra em uma descrição maravilhosa da ciência. Então, por favor, verifique isso.

[W] Temos 10 minutos restantes Doreen. Então, vamos dar uma olhada em mais algumas perguntas.

[W] Heather pergunta, esta é a última fase da pesquisa clínica?

[W] Doreen aqui, normalmente os testes cruciais que descrevemos devem ser o último estágio para obter permissão de registro.

[W] Ainda estamos aprendendo muito sobre o que essa molécula pode fazer.

[W] E, portanto, esperamos continuar registrando a segurança e pode haver outras perguntas. Queremos abordar uma questão.

[W] Ouvimos muitas vezes é, podemos fazer esses pacientes com menos de 12 anos?

[W] E isso é algo que nós somos.

[W] Vamos investigar para ver se podemos fazer isso.

[W] Então, isso pode ser uma pergunta em breve, ou pode ser uma pergunta que só podemos obter permissão para testar e crianças e crianças mais novas.

[W] Excelente.

[W] Obrigada. Doris, Anjou falando aqui.

[W] Emmanuel Ouvi dizer que haverá um estudo de fase três na Europa e o estudo terá um grupo simulado.

[W] Então eu vou começar isso no manual. Absolutamente. Esperamos abrir nossas instalações de ensaios clínicos na Europa Sirius e Celeste o mais rápido possível em 2022, e haverá uma farsa para Doreen.

[W] Dois.

[W] Sim, ter um controle é muito importante para obter dados convincentes. Quando você tem uma doença que pode variar drasticamente de um paciente para outro.

[W] É um, é um ponto que não está em mesa de negociação com o regulador.

[W] Eles realmente querem ter certeza de proteger o paciente de que qualquer efeito que vemos é um efeito verdadeiro e não um efeito aleatório. E é por isso.

[W] A insistência de que temos um controle e, nesta situação, é uma trama de controle simulada.

[W] Conseguimos manter os números atribuídos ao grupo Sham tão pequenos quanto possível.

[W] Para manter a validade do julgamento.

[W] E isso é Andy falando aqui.

[W] Eu acho que isso é realmente fundamental. Como todos vocês.

[W] Venha, a jornada de pesquisa clínica conosco é o fato de que, você sabe, temos que fazer certas coisas para garantir que os dados estejam limpos e que mostremos o máximo possível o efeito e os braços de controle desempenham um papel nisso Nós vamos.

[W] Um requisito regulamentar na maioria dos casos.

[W] Vamos dar uma olhada.

[W] Esta é uma pergunta do Sean, os resultados positivos do ProQR do, mostram que há uma melhora de 8 letras em relação ao controle de 72 semanas.

[W] Isto é quase inteiramente devido à geração de ações dos não tratados. Na verdade, há uma deterioração de aproximadamente oito letras, sem tratamento, isso parece extremamente rápido. Você consideraria a taxa de DJ que normalmente para nós para um indivíduo?

[W] Em teoria, não haverá Melhoria do Envision na visão. E o melhor cenário é a estabilização no tratado. I independentemente da taxa de deterioração dos indivíduos.

[W] Durante, você gostaria de mim?

[W] Você gostaria de levar isso?

[W] sim.

[W] durante a fala.

[W] Obrigada. Obrigada. Shawn para a pergunta, a taxa de deterioração como parte da doença natural, Evolução.

[W] Isso é algo que compartilhamos essa observação de que parece relativamente rápido durante o curso do estudo, lembre-se de que é um pequeno número de pacientes

[W] I em são estudos fundamentais.

[W] Estamos subindo.

[W] Haverá um total de aproximadamente 200 pacientes na fase 2 3 do programa para tentar ter uma ideia clara entre os tratados e os não tratados.

[W] Então, para a primeira parte, compartilhamos, qual é o seu, estamos alinhados com o seu comentário na segunda parte.

[W] Podemos esperar algo melhor do que ficar?

[W] Abelização, uma vez que os fotorreceptores se deterioraram. Eles não se regeneram.

[W] É por isso que estamos procurando preservar o número máximo de fotorreceptores e ter certeza de que podemos ajudar no seu funcionamento.

[W] Então há um grau também do, eu aprendendo,

[W] E isso pode levar a pequenas melhorias, mas, se é uma verdadeira melhoria sustentável, é muito cedo para dizer.

[W] Então, acho que a estabilização é nosso alvo imediato e estaremos olhando com muito cuidado para ver se podemos fazer algo melhor do que isso.

[W] Isso é ótimo.

[W] Obrigada. Andy está falando?

[W] Isso é ótimo.

[W] Doreen.

[W] Obrigada.

[W] O que é maravilhoso ver uma comunidade tão engajada.

[W] Estamos tentando passar.

[W] Também estou traduzindo um pouco para nossos colegas da Comunidade Latino-Americana na linha.

[W] Vale a pena notar. Esperamos ter sites latino-americanos.

[W] Estamos trabalhando com o Brasil atualmente.

[W] No entanto, vale a pena notar que nós fazemos. Se você é elegível para o estudo. No passado, permitimos que as pessoas viajassem.

[W] Bem, e pagar pela acomodação, tudo isso é coberto pelo patrocinador, que somos nós para o teste para levá-lo ao centro certo.

[W] Vale a pena notar neste ponto também, que eu realmente não posso continuar sem agradecer à Usher Coalition por toda a ajuda com isso.

[W] Acabamos de iniciar uma nova iniciativa com a Usher Coalition e isso está muito próximo do meu coração como a pessoa responsável no ProQR para o alcance da comunidade e agora

[W] Utilizando o registro Usher Usher.

[W] realmente ficando na frente de todos vocês.

[W] Como estamos fazendo hoje e realmente utilizando para ver se podemos colocá-lo em nossas avaliações.

[W] Vale a pena notar.

[W] Proq.

[W] Achamos muito difícil recrutar o susto. ensaios Lca10. Estas são condições raras.

[W] Isso não é doença cardíaca ou qualquer coisa assim.

[W] O mais rápido possível e trazendo estes.

[W] Esperamos medicamentos para todos o mais rápido possível, certo?

[W] Vou parar de reclamar e vou fazer mais perguntas à medida que entramos na reta final aqui.

[W] Doreen.

[W] Jim pergunta, vejo que há algum site nos EUA.

[W] No Texas.

[W] Haverá outros sites ao redor dos EUA, incluindo a área de DC? Eu acho, eu posso levar esse Jim. Esperamos ter vários sites abertos nos EUA e, como mencionei antes, cada site tem um procedimento ético diferente e

[W] Todos os diferentes processos de aprovação para que tenhamos toda a ciência e a segurança aprovadas. Por esse lado clínico.

[W] Nós fazemos.

[W] espero ter alguns na América. Então assista nossa página da web para atualizações, ou você pode entrar em contato comigo diretamente em informações do paciente em ProQR.com. E eu conheço muitos de vocês. Estou reconhecendo alguns nomes aqui. Fazendo perguntas, quem, quem nos escreveu

[W] Obrigado por entrar em contato.

[W] É, estamos tentando o nosso melhor para abrir os sites o mais rápido possível. Mas alguns estão demorando um pouco mais do que outros, o que é normal para pesquisas clínicas.

[W] Acho que respondemos muitas delas.

[W] Sim eu acho.

[W] Muitos deles estão fazendo perguntas médicas que infelizmente não podem respondê-las diretamente.

[W] Eu gostaria que fosse assim.

[W] Deixe-me verificar o que era tudo isso. Deixe-me verificar a função de bate-papo para ver o que temos aqui.

[W] Tenha paciência comigo.

[W] Todo o mundo.

[W] São muitas perguntas, então desculpe.

[W] Este é muito bom.

[W] Christina pergunta, existem planos de injetar qr-421a no ouvido também para ver se isso pode afetar a perda auditiva?

[W] Quer que eu pegue aquela Doreen ou pule? Pular. Novamente? Eu posso.

[W] Eu posso tentar isso.

[W] Então, no momento, estamos realmente concentrando o ultevursen no olho.

[W] Algo que Daniel realmente reiterou.

[W] Então, nosso foco é realmente na ocular ou, especificamente, eu recebo muito essa pergunta porque temos um comitê interno. E um dos membros do nosso comitê interno realmente pergunta sobre o ouvido também.

[W] O que acontecerá no futuro, mas no momento, o ProQR está apenas se concentrando no olho e através dele. Então não vamos fazer a orelha também.

[W] Direito.

[W] Consciente. Temos um minuto restante Crystal. Não vamos chegar a todos esses infelizes.

[W] Sim, possivelmente muito descanso. Você deseja participar de uma aquisição.

[W] Aqui é Krista falando.

[W] Sim, recebemos uma quantidade enorme de perguntas.

[W] Isso é tão emocionante.

[W] Exatamente o que precisamos para ver esse entusiasmo.

[W] Farei o meu melhor para capturar quaisquer perguntas que talvez não tenhamos coberto. Houve muitas, você sabe, repetições e tudo, mas farei o meu melhor.

[W] Para documentar isso e poder fazer algum acompanhamento com os indivíduos.

[W] Eu sei que muito disso é apoio individual e tipo individual de análise de testes genéticos médicos e tudo mais.

[W] Então isso tem sido fantástico.

[W] Isso tem sido tão maravilhoso.

[W] Quero agradecer a vocês, Doreen e Andy novamente, por apresentarem hoje. E compartilhando essas informações importantes.

[W] Will, esta é uma conversa, você sabe, entre todos os mais de 200 de nós, certo?

[W] Em contato com a Coalizão da Síndrome de Usher, entre em contato com a aquisição e os locais de ensaios clínicos, todas essas coisas, à medida que for lançada. Será que essa informação virá se tornar disponível.

[W] Mas a Coalizão está aqui para ajudar a apoiar todos vocês a tentar descobrir se isso é algo que funciona para você e quais podem ser os próximos passos.

[W] somos recurso. Por favor. Não hesite em entrar em contato e uma gravação deste webinar será fornecida com transcrições.

[W] Em tudo isso também. Então, obrigado, mais uma vez a todos por fazerem parte disso e nos falaremos em breve.

[W] Tenha um ótimo resto de dia e noite. Obrigada.

