

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

00:19:21 [W] Okay.

00:19:23 [W] Hallo an alle.

00:19:27 [W] Sehen Sie, viele Leute kommen vorbei, wir geben jedem eine Minute, um sich anzumelden.

00:19:40 [W] Okay.

00:19:48 [W] Ich sehe immer noch, wie die Zahlen kriechen.

00:19:51 [W] Wir haben heute einen sehr großen Andrang.

00:19:54 [W] Das ist sehr aufregend.

00:19:55 [W] Ich gebe den Teilnehmern noch etwa 30 Sekunden Zeit, sich anzumelden, und dann gehen wir die heute verfügbaren Barrierefreiheitsfunktionen durch, bevor wir mit der Präsentation beginnen.

00:20:12 [W] Okay, also hallo alle zusammen.

00:20:16 [W] Ich bin Krista Vasi und ich bin der geschäftsführende Direktor der Usher-Syndrom-Koalition und ich heiße Sie alle heute zu dieser Präsentation willkommen, bevor ich eher eine Begrüßung und Einführung mache. Ich möchte die Barrierefreiheitsfunktionen durchgehen

00:20:31 [W] Jeder hat vollen Zugriff.

00:20:29 [W] Wir haben eine Übersetzung in die spanische Sprache, also können Sie diese aktivieren, indem Sie auf das Globus-Symbol in der unteren Symbolleiste klicken und Spanisch auswählen.

00:20:43 [W] Und wenn Sie Spanisch auswählen, haben Sie die Möglichkeit, den englischen Originalton stummzuschalten.

00:20:48 [W] Ich werde unserem Spanisch-Dolmetscher eine Minute geben, um das zu übersetzen, und den Teilnehmern erlauben, diese Audio-Übersetzung ins Spanische einzuschalten.

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

00:21:34 [W] Okay, also hoffen wir, dass unsere spanischsprachigen Freunde gerade jetzt auf den spanischen Ton springen.

00:21:40 [W] Ich werde diese Gelegenheit nutzen, um mich und unsere anderen Redner heute daran zu erinnern, dass wir viele verschiedene Arten von Dolmetschern haben.

00:21:51 [W] Ich muss aufholen und mich auch identifizieren, wenn ich spreche oder einer der anderen Moderatoren. Es ist immer gut, sich zuerst zu identifizieren und dann zu sprechen.

00:21:59 [W] Lassen Sie uns heute unsere Aufmerksamkeit auf die andere große Zugänglichkeitsfunktion lenken, die Wordly ist.

00:22:07 [W] Dies ist ein KI-gestütztes Übersetzungssystem, das dieses Webinar in über 20 Sprachen übersetzt und aktiviert

00:22:19 [W] Sie können auf den Link klicken, den wir im Chatfeld bereitgestellt haben, oder Sie können auf den Abwärtspfeil klicken. Neben der Live-Schaltfläche oben links auf Ihrem Bildschirm und wählen Sie Ansicht

00:22:34 [W] Auf einem benutzerdefinierten Live-Streaming-Dienst, der eine Browser-Registerkarte öffnet. Das hat das Wort Lüge.

00:22:42 [W] Die Wordly-App, mit der Sie dann Ihre Sprache auswählen und die Untertitel in Ihrer Sprache sehen können.

00:22:49 [W] Sie können. Auch wenn es Optionen für einige Sprachen gibt, um Ihre Sprache zu hören.

00:22:56 [W] Hören Sie sich auch The Voice an. Hoffentlich kann also jeder auf die Wordly-Übersetzung für alle Suchenden zugreifen.

00:23:04 [W] Für Untertitel und Englisch. Wir haben die Live-Trance-Transkription in Zoom aktiviert.

00:23:11 [W] Wählen Sie also unten das CC-Symbol aus. Rechts neben dem Bildschirm in Ihrer Zoom-Menüleiste schalten Sie die Untertitelung ein.

00:23:19 [W] Sie können auch Untertiteleinstellungen auswählen und die Größe an Ihre visuellen Bedürfnisse anpassen.

00:23:26 [W] Mal sehen, wir haben heute auch unsere ASL-Dolmetscher dabei.

00:23:30 [W] Wir haben sowohl Melissa als auch Dena und ich liebe es, wenn Melissa und Dena winken und sich identifizieren.

00:23:38 [W] Hallo.

00:23:40 [W] Jeder, der heute ASL-Dolmetschen verwendet, kann Melissa und Dena anheften.

00:23:45 [W] So sind sie auf Ihrem persönlichen Gerät immer sichtbar.

00:23:48 [W] Sie tun dies, indem Sie auf klicken. Die drei Punkte oben in ihrem Video und ich denke, das deckt die unterschiedliche Zugänglichkeit ab.

00:24:00 [W] Was war das?

00:24:03 [W] Gut ist Untertitelung, Arbeiten und Dolmetscher sind sichtbar.

00:24:12 [W] Gutes Spanisch.

00:24:15 [W] Lernen Sie die spanische Sprache.

00:24:16 [W] Dolmetscher sind bereit.

00:24:17 [W] Ja.

00:24:19 [W] Ich sehe viele Jas.

00:24:22 [W] Wunderbar und großartig.

00:24:25 [W] Ich werde diesen Moment nutzen, um Brian kurz vorzustellen.

00:24:28 [W] Er ist unser technischer Support.

00:24:30 [W] Wenn Sie während des Webinars Fragen oder Probleme haben, können Sie direkt mit Brian chatten und er kann Ihnen helfen.

00:24:37 [W] Okay, also weiter zur Show. Willkommen noch einmal. Bevor ich Ihnen unsere Gäste von ProQR Therapeutics vorstelle, möchte ich ein paar Worte sagen, um die Bedeutung

00:24:52 [W] dieses Augenblicks zu zeigen.

00:24:54 [W] Die Usher-Syndrom-Koalition wurde vor über 10 Jahren mit genau diesem Moment im Hinterkopf gegründet.

00:25:02 [W] Unser Daseinsgrund ist es, die Kluft zwischen Forschern und denen, die mit dem Usher-Syndrom leben, zu überbrücken.

00:25:10 [W] Im Jahr 2008. Die Koalition wurde mit dem aufrichtigen Glauben gegründet, dass wir Unterstützung finden und jeden mit Usher-Syndrom verbinden können.

00:25:18 [W] Und dann sicherzustellen, dass klinische Studien für das Usher-Syndrom erfolgreich sind.

00:25:23 [W] Menschen, die mit dieser Erkrankung leben.

00:25:24 [W] Einfach gesagt, Forschung kann nicht stattfinden. Ohne Sie können Behandlungen nicht ohne Sie entwickelt werden. Die Experten, die mit dem Usher-Syndrom leben.

00:25:35 [W] Deshalb freue ich mich unglaublich auf diese Präsentation heute.

00:25:38 [W] Zum ersten Mal.

00:25:40 [W] Es gibt eine klinische Studie im Endstadium für eine Behandlung des Usher-Syndroms.

00:25:44 [W] Dies ist ein Meilenstein, der es wert ist, anerkannt und gefeiert zu werden.

00:25:48 [W] Und während diese spezielle klinische Studie für eine bestimmte Bevölkerungsgruppe innerhalb unserer breiteren Gemeinschaft bestimmt ist.

00:25:54 [W] Ich weiß, dass dies nur der Beginn einer neuen Ära in der Usher-Syndrom-Forschung ist, in der die Koalition schließlich alle für alle Arten von Usher zusammenbringen kann.

00:26:05 [W] Mit der Forschung, die ihnen zugute kommt.

00:26:07 [W] Daher freue ich mich sehr, Ihnen heute unseren Sprecher vorzustellen.

00:26:10 [W] Doreenholz, von ProQR. Sie ist vor kurzem dem Team beigetreten und ist die Projektleiterin für die Usher-Syndrom-Studien, von denen Sie heute hören werden.

00:26:19 [W] Also, Doreen, ich gebe es an dich weiter.

00:26:24 [W] Danke schön.

00:26:24 [W] Danke schön.

00:26:28 [W] Chris Schritt. Hallo an alle.

00:26:30 [W] Guten Tag.

00:26:31 [W] Guten Abend.

00:26:32 [W] Mein Name ist Doreen Holz.

00:26:38 [W] Während wir diese Covid-Tage fortsetzen.

00:26:38 [W] Ich mache.

00:26:39 [W] Hoffe dir geht's gut.

00:26:41 [W] Das ist meine erste Chance, Sie kennenzulernen.

00:26:44 [W] Ich bin neu bei ProQR, ich kannte die Augenheilkunde.

00:26:49 [W] In dieser Diskussion heute.

00:26:51 [W] Ich möchte der Usher Coalition für ihre wundervolle fortwährende Partnerschaft mit danken. Proqr.

00:26:58 [W] Wir sehen es als entscheidend an, solch starke Partner zu haben, die uns zur Rechenschaft ziehen, um unsere klinische Entwicklung zu unterstützen und sicherzustellen, dass Sie mitreden.

00:27:09 [W] Sie, die Community, werden heute in ProQR laut und deutlich gehört. Ich werde mit Ihnen darüber sprechen, was wir als kleines.

00:27:20 [W] Biotech mit Sitz in der niederländischen Stadt Leiden und in Cambridge, Massachusetts. Was tun wir in der RNA-Wissenschaft speziell beim Usher-Syndrom und anderen genetischen Augenerkrankungen?

00:27:35 [W] Nur um mich vorzustellen.

00:27:33 [W] Meine Aufgabe ist es, das QR-421a-Projekt für unsere Aktien zu leiten.

00:27:40 [W] Meine Expertise liegt darin, die Entwicklung neuer Medikamente voranzutreiben, um sie zum Patienten zu bringen. Kurz bevor ich die Folien teile. Ich möchte sagen.

00:27:52 [W] Ich hoffe, mein schottischer Akzent ist nicht zu stark.

00:27:55 [W] Zögern Sie nicht, mir zu sagen, dass ich langsamer oder deutlicher sprechen soll.

00:28:02 [W] Ich werde also ungefähr 30 Minuten sprechen, was viel Zeit für Ihre Fragen lassen sollte.

00:28:23 [W] Und ich überprüfe gerade, Sie können eine Folie sehen.

00:28:29 [W] Ja, danke.

00:28:36 [W] Dies sind zukunftsgerichtete Aussagen.

00:28:41 [W] Wer sind wir?

00:28:42 [W] ProQR Therapeutika?

00:28:44 [W] RNA-Therapien für Personen mit einer genetisch bedingten Augenerkrankung mit der Mission, den Sehverlust zu stoppen oder sogar einige der Symptome im Bereich der RNA-Therapien rückgängig zu machen, ProQR.

00:28:56 [W] Die Spitze bei der Bereitstellung zielgerichteter Therapien für Menschen mit genetischen Augenerkrankungen, sei es ihre Netzhaut oder der Augenhintergrund, wie das Usher-Syndrom oder Fuchs und Äther

00:29:11 [W] Dystrophie, die die Hornhaut oder die Vorderseite des Auges ist.

00:29:22 [W] Ironie, Therapien, verwenden Sie Antisense Antisense alle her. Nukleotide mehr darüber, was das ist.

00:29:30 [W] später. Und diese wurden speziell entwickelt, um die zugrunde liegende Ursache der Krankheit in der RNA einer Person zu korrigieren, um das Fortschreiten der Krankheit zu stoppen oder sogar die Symptome umzukehren.

00:29:44 [W] Also RNA, wir sprechen über Ribonukleinsäure und es ist ein wesentlicher Bestandteil.

00:29:52 [W] Von allen lebenden Zellen.

00:29:53 [W] Ich bin sicher, dass viele von Ihnen aufgrund der Impfstoffe von Pfizer und Moderna jetzt schon von RNA oder mRNA gehört haben.

00:30:04 [W] Ich war sehr aufgeregt, den Impfstoff zu erhalten, um zu sehen, wie die Wissenschaft in einer großen Bevölkerung eingeführt wird.

00:30:12 [W] Es unterscheidet sich also sehr davon, wie wir die Wissenschaft anwenden.

00:30:17 [W] Es ist immer noch cool.

00:30:21 [W] Ironie wird zur Übersetzung verwendet.

00:30:24 [W] Dies ist der Prozess, bei dem Proteine in der Zelle gebildet werden.

00:30:30 [W] RNA selbst wird aus DNA hergestellt.

00:30:34 [W] Zu wissen, was DNA ist, wegen Jurassic Park.

00:30:39 [W] Wir wissen, was passiert, wenn man eine Kröten-DNA mit einer Dinosaurier-DNA mischt, und es ist nicht schön, und eine Ironietherapie soll die Mutation in der DNA korrigieren

00:30:54 [W] jemand mit einer genetischen Krankheit, indem er den Fehler korrigiert, kann die RNA dann verwendet werden, um das Protein zu erzeugen, das die Zelle benötigt, um die zugrunde liegende Ursache zu beseitigen

00:31:08 [W] Kondition.

00:31:11 [W] Einfach hier vorrücken.

00:31:12 [W] Diese Folie erzählt also die Geschichte unseres Unternehmens ProQR, das 2012 von Ihrem derzeitigen CEO gegründet wurde.

00:31:23 [W] Daniel de Boer einige Jahre zuvor. Daniel und seine Familie wurden mit der Diagnose Mukoviszidose bei seinem neugeborenen Sohn konfrontiert.

00:31:34 [W] Dies ist eine Seltenheit. Unheilbare Erbkrankheit Daniel.

00:31:40 [W] Hilfe von Experten auf dem Gebiet der Arzneimittelentwicklung und Gründung von ProQR, um Menschen wie seinem Sohn zu helfen.

00:31:49 [W] Als praktikable Behandlungen bei zystischer Fibrose auftauchten, sah sich Daniel andere Bereiche von Clear an.

00:31:57 [W] Hoher ungedeckter Bedarf.

00:32:02 [W] An diesem Reflection Point für das Unternehmen. Wir hatten mit der klinischen Arbeit und der kongenitalen Leber-Amaurose vom Typ 10 oder LCA10 begonnen, und daher war die natürliche Verschiebung da.

00:32:17 [W] Zeit ProQR hat sich verschoben.

00:32:19 [W] seinen Fokus auf genetische Augenkrankheiten.

00:32:25 [W] Seit 2017 beobachten wir, wie sich ProQR konzentriert und die klinische Forschung vorantreibt.

00:32:32 [W] Das ist Forschung mit.

00:32:36 [W] Laden Sie Personen, die mit LCA10 mit Usher-Syndrom leben, zu einer autosomal dominanten Retinitis ein.

00:32:45 [W] Pigmentosa und zuletzt Endotheliale Hornhautdystrophie nach Fuchs.

00:32:54 [W] Im Januar letzten Jahres hatten wir unsere zulassungsrelevante Phase-zwei-drei-Studie vollständig in LCA10 eingeschrieben, die uns als Unternehmen in eine neue Ära führt, in der wir

00:33:09 [W] Weil sie zu Regulierungsbehörden, zur FDA, zur Ema und nach Europa gebracht werden müssen, um Holzkohle in Großbritannien zu emittieren, um eine Therapie zu registrieren

00:33:20 [W] Du 22.

00:33:18 [W] Wie Krista sagte, ist es also eine sehr aufregende Zeit für die Community und für uns als Unternehmen.

00:33:35 [W] Es wird geschätzt, dass derzeit fünf Millionen Menschen auf der Welt mit genetischen Augenerkrankungen leben, aber wahrscheinlich sind es noch mehr, weil das Bewusstsein für Gentests fehlt.

00:33:50 [W] Und öffentliches Wissen für die überwiegende Mehrheit dieser Menschen.

00:33:56 [W] Es gibt keine Behandlung für den Sehverlust und die eventuelle Erblindung, die auftreten können.

00:34:06 [W] Wir glauben, dass der beste Weg, diese Mission zu erfüllen, darin besteht, RNA-Therapien für genetisch bedingte Augenkrankheiten zu entwickeln.

00:34:14 [W] Wir haben eine Plattform aufgebaut, um diese hochgradig zielgerichteten Therapien zu entwickeln, um die zugrunde liegende Ursache der Krankheit anzugehen und das Sehvermögen zu verbessern.

00:34:28 [W] Und mit mehr als 300 identifizierten Genen, die genetische Augenerkrankungen verursachen.

00:34:35 [W] Es gibt eine immense Chance, Therapien für Menschen in Not zu entwickeln, zum Beispiel LCA10-Erkrankungen. Das verursacht einen Fehler eine Mutation in der

00:34:50 [W] Jedes aufgrund der Mutation essentielle Protein im I kann nicht funktionieren oder fehlt, und dies führt zur Verschlechterung der Licht erkennenden Zellen

00:35:04 [W] Wie zum Nachweis von Zellen in der Netzhaut.

00:35:14 [W] Auf dem Gebiet der RNA-Therapeutika steht ProQR an vorderster Front bei der Bereitstellung gezielter Therapien für Menschen mit genetisch bedingten Augenerkrankungen, unsere RNA-Therapien verwenden,

00:35:30 [W] Ich trage RNA-Therapien, verwende Antisense-Oligonucleotide, die speziell entwickelt wurden, um die zugrunde liegende Ursache der Krankheit im Zustand einer Person zu korrigieren und die Krankheit zu stoppen

00:35:46 [W] Oder sogar um Symptome umzukehren.

00:35:49 [W] Was sind das also, all diese Antisense-Nukleotide, sie bestehen aus kurzen, synthetischen RNA-Abschnitten, die chemisch modifiziert wurden, um zu wachsen

00:36:05 [W] Und ihre Aufnahme in Zellen.

00:36:09 [W] Diese Technik ist ein etablierter Ansatz zur Behandlung genetischer Erkrankungen und dort zugelassen.

00:36:17 [W] RNA-Therapien werden heute zur Behandlung von Patienten eingesetzt.

00:36:23 [W] Also, wie führen wir die Behandlung durch?

00:36:28 [W] Damit ein Medikament wirkt. Zuerst muss es in den Körper gelangen.

00:36:34 [W] RNA-Therapien funktionieren am besten. Werden sie bei Netzhauterkrankungen direkt in das betroffene Organ abgegeben, können beliebige Therapien in den Glaskörper injiziert werden

00:36:49 [W] Das ist der Hohlraum, der bei dieser Verabreichungsmethode mit der geleeartigen Flüssigkeit gefüllt ist.

00:36:55 [W] Es ist als introvertiertes Vitriol, Injektion oder IV T bekannt und eines der am häufigsten durchgeführten Verfahren bei Augenkrankheiten.

00:37:06 [W] Das Verfahren wird von Ärzten bei häufigen Erkrankungen wie altersbedingter Makuladegeneration bei diabetischer Retinopathie und Netzhautvenenverschluss durchgeführt.

00:37:23 [W] IV T unterscheidet sich also von der subretinalen Injektion. Die Methode, die für die Gentherapie verwendet wird, die eine heikle Netzhautoperation erfordert.

00:37:41 [W] Wie ist der Ablauf für ein Vorstellungsgespräch?

00:37:44 [W] Hinterspritzung?

00:37:45 [W] der gesamte Eingriff etwa 10 bis 15 Minuten dauert und einfach in der Arztpraxis durchgeführt wird?

00:37:52 [W] Während der Patient auf einem Stuhl sitzt?

00:37:57 [W] Das Auge wird betäubt, damit es nicht schmerzt.

00:38:01 [W] Sobald das Auge vorbereitet ist.

00:38:03 [W] Die Person wird aufgefordert, in eine bestimmte Richtung zu schauen.

00:38:07 [W] Während das Arzneimittel mit einer sehr feinen Nadel in den weißen Teil des Auges injiziert wird.

00:38:19 [W] Wie können wir also unsere RNA-Moleküle testen? Unsere Innovation? Team ist immer auf der Suche nach neuen Techniken.

00:38:29 [W] Wir verwenden kleine Hautbiopsien von Einzelpersonen, um lebende Augenmuschelmodelle zu erstellen, um unsere Medikamente zu testen und zu sehen, ob wir Target-Engagement haben.

00:38:41 [W] noch bevor jemandem ins Auge gespritzt wird.

00:38:47 [W] Über Ironie. Und was ist der Unterschied zu DNA für diejenigen im Webinar, die die Grafik möglicherweise nicht sehen können?

00:38:57 [W] Lassen Sie es mich unten beschreiben.

00:39:01 [W] Wir haben eine DNA-Doppelhelix, wie ich mir vorstelle. Die meisten von uns sind damit über die DNA vertraut.

00:39:09 [W] Wir haben eine einzelsträngige RNA. Wie zuvor genannt. Diese RNA wird zur Translation verwendet.

00:39:17 [W] Bei dem Prozess, bei dem Proteine in einer Zelle erstellt werden. RNA selbst wird in einem Prozess namens Transkription aus DNA hergestellt.

00:39:35 [W] Gentherapie.

00:39:36 [W] Im Allgemeinen macht die DNA-Gentherapie dauerhafte Veränderungen, die direkt auf das krankheitsverursachende Gen einwirken und Vektoren erfordern

00:39:51 [W] Die Zielzellen. Die Genbearbeitung ändert sich direkt.

00:39:53 [W] Die DNS.

00:39:58 [W] Im Gegensatz dazu wirken RNA-Therapien auf der Ebene der RNA.

00:40:05 [W] Alle haben eine vorübergehende Wirkung und verändern das Genom nicht.

00:40:12 [W] Also, vor allem Antisense, Nukleotide benötigen keine Vektoren, um auf die Zielzellen zuzugreifen.

00:40:19 [W] Wir kommen noch zu zweit. Dazu später mehr.

00:40:29 [W] Also danke, dass Sie geduldig mit mir waren, um zu dem Teil des Vortrags zu kommen, von dem ich denke, dass er die meisten von Ihnen interessieren wird.

00:40:37 [W] Unsere laufenden Forschungen für uns zu einer vermittelten Retinitis Pigmentosa und dem Usher-Syndrom.

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

00:40:50 [W] Das ist der Name der Behandlung.

00:40:52 [W] Es ist eine Untersuchung.

00:40:56 [W] RNA-Therapie zum Überspringen von Exon 13 und der RNA mit dem Ziel, den Sehverlust zu stoppen.

00:41:05 [W] Es ist sehr spezifisch für Exon 13.

00:41:11 [W] Das ist also wirklich Genwissenschaft.

00:41:13 [W] Ich möchte unseren Partnern bei der Stiftung gegen Blindheit danken, die unser Programm wirklich finanziell unterstützt haben.

00:41:25 [W] Also ein bisschen über das Assurance-Syndrom und die Fortschritte, die wir machen

00:41:32 [W] Wir haben über die Wissenschaft gesprochen. Und jetzt möchte ich über die neuesten Nachrichten im März sprechen. Vergangenes Jahr.

00:41:41 [W] Wir freuen uns, die positiven Ergebnisse unserer klinischen Studie zu Usher-Syndrom und Retinitis bekannt zu geben, die den Namen Stellar trägt und alle ihre erklärten Ziele erreicht hat.

00:41:56 [W] Dies markiert einen entscheidenden Meilenstein in unserer laufenden Forschung zur RNA-Therapie.

00:42:07 [W] Qr-421a ein einprägsamer Name.

00:42:09 [W] Ich weiß, dass es den Sehverlust bei Menschen mit einer Mutation in einem bestimmten Teil des Bogens zu einem Gen, dem Teil namens Exon 13, zu stoppen scheint.

00:42:25 [W] Qr-421a, es funktioniert, indem es an den mutierten Abschnitt bindet und Exon 13 aus der RNA ausschließt.

00:42:36 [W] Klingeln.

00:42:38 [W] Die Zellen in der Netzhaut können dann einen etwas kürzeren, aber funktionellen Ansturm auf ein Protein produzieren. Die klinische Studie Stellar sollte sehen, ob dies die Vision stoppen oder umkehren könnte

00:42:53 [W] Sicheres Syndrom.

00:43:02 [W] Dies ist also ein Bild des Designs der klinischen Studie. In den verschiedenen Phasen der klinischen Entwicklung geht es darum, Daten und Erkenntnisse zu sammeln.

00:43:17 [W] Es ist erwähnenswert, dass dieses Design aus drei verschiedenen Dosen bestand, die an 20 Teilnehmern der klinischen Studie mit einer Nachbeobachtungszeit von zwei Jahren getestet wurden.

00:43:34 [W] Die Teilnehmer wurden randomisiert und erhielten QR-421a oder Sean in einem Auge und das andere Auge blieb übrig.

00:43:48 [W] unbehandelt als Kontrolle.

00:43:52 [W] Für diese Sharm. Randomisieren Sie die Teilnehmer, denen ich eine introvertierte reale Dummy-Injektion unterzogen habe.

00:44:02 [W] Es gab also kein Durchdringen des Auges.

00:44:06 [W] und der Schein. Der Arm wird nur zu Maskierungszwecken verwendet.

00:44:13 [W] Was meine ich also mit Maskieren?

00:44:16 [W] Es ist eine Art, sich zu verstecken.

00:44:19 [W] Welche Behandlung Sie, der Patient, erhalten hat, um Vorurteile zu reduzieren.

00:44:28 [W] Angesichts der unterschiedlichen Gewinnraten des Krankheitsverlaufs zwischen den Teilnehmern und der geringen Zahl der teilnehmenden Experten. Glauben Sie, die beste Kontrolle ist die unbehandelte,

00:44:43 [W] Ich bin in der gleichen Studie, Teilnehmer.

00:44:47 [W] Das Ziel dieser Einzeldosisstudie war also die Identifizierung für Registrierungszwecke. Was bedeuten die, welches Dosierungsintervall basierend auf dem Beginn?

00:44:58 [W] Die Dauerhaftigkeit und das Nachlassen der Wirkung und die Zielgruppe für die nächste Phase der klinischen Entwicklung?

00:45:11 [W] Und die positive Nachricht ist, dass die Studie alle ihre erklärten Ziele erreicht hat.

00:45:19 [W] Wir fanden auch zwei Populationen früh. Moderater Krankheitsverlauf und fortgeschrittener Krankheitsverlauf bei. Das ist wichtig und ich werde später darauf eingehen.

00:45:37 [W] Hier ist also die Zusammenfassung dessen, was wir in dieser Stellar-Studie gesehen haben. Es war eine Phase 1, zwei klinische Studie, um zu testen, ob es das ist

00:45:53 [W] Um in einer klinischen Studie zu testen, ob es sich um das QR-421a-Molekül handelt und die Wirkung auf das Sehvermögen unbedenklich ist.

00:46:04 [W] Das Medikament wurde als sicher und gut verträglich ohne schwerwiegende Nebenwirkungen beobachtet.

00:46:10 [W] Unerwünschte Ereignisse gemeldet.

00:46:14 [W] Der klinische Wirksamkeitsnachweis wurde für die bestkorrigierte Sehschärfe erbracht.

00:46:24 [W] das ist bcva oder du kennst es vielleicht. Wie die Sehtafel auch auf statischer Perimetrie, die verwendet wird, um Retinol, Empfindlichkeit zu messen.

00:46:36 [W] Und diese wurden durch wichtige sekundäre Endpunkte wie unterstützt

00:46:43 [W] OCT-Bildgebung, die Netzhaut, Dicke und Mikroperimetrie untersucht.

00:46:53 [W] Darüber hinaus haben wir die wichtigsten Informationen gesammelt, um das Programm voranzubringen, einschließlich der entsprechenden Registrierung, und die Türen zu öffnen.

00:47:05 [W] Das zu verwendende Dosierungsintervall und die optimale Studienpopulation wurden für die nächste Studie ermittelt.

00:47:15 [W] Ich freue mich, sagen zu können, dass wir uns dann der Herausforderung gestellt haben, anzufangen.

00:47:22 [W] Pivotal Studies bis Ende letzten Jahres.

00:47:28 [W] Einer war in der frühen bis mittelschweren Patientenpopulation, einer in der Gruppe mit fortgeschrittener Erkrankung.

00:47:39 [W] Wir hatten also eine große Herausforderung, bis Ende des Jahres zu beginnen, und ich freue mich sehr, sagen zu können, dass die ersten Patienten nun im Dezember behandelt wurden.

00:47:54 [W] Wir haben bei allen behandelten Patienten in der Stellar-Studie einen Nutzen festgestellt.

00:48:00 [W] Dazu gehörten Studienteilnehmer mit sowohl fortgeschrittenem als auch frühem bis mäßigem Sehverlust.

00:48:09 [W] Und diese Definition zwischen den beiden Gruppen wird für die nächsten Forschungsphasen wichtig sein.

00:48:18 [W] Wir haben einen vollständigen Blog und ein Community-Briefing auf unserer Website.

00:48:23 [W] Wenn die Leute interessiert sind, mehr zu lesen.

00:48:31 [W] Keine, gesehen Krista erzählte uns, dass viele Leute etwas über Risiken und Sicherheit wissen wollten.

00:48:39 [W] Dies ist ein kritischer Teil der klinischen Forschung.

00:48:42 [W] Sagte uns, dass viele Leute etwas über Risiken und Sicherheit wissen wollten.

00:48:48 [W] Dies ist ein kritischer Teil der klinischen Forschung.

00:48:52 [W] Es ist erwähnenswert, dass bei der Durchführung dieser Art von Studien immer ein Risiko besteht, und ich hoffe, dass wir Ihnen anhand der Sicherheitsaspekte zeigen können, wie wir diese klinischen Studien durchführen

00:49:09 [W] Wir machen diese klinischen Studien so sicher wie möglich.

00:49:12 [W] Wir nehmen Sicherheit sehr ernst und arbeiten weiterhin mit Aufsichtsbehörden und Ethikkommissionen zusammen, um sicherzustellen, dass die Teilnehmer während der gesamten Studie betreut werden.

00:50:14 [W] Ich entschuldige mich.

00:50:15 [W] Ich glaube, wir haben die Verbindung für einen Moment verloren.

00:50:17 [W] Ja.

00:50:20 [W] Okay, einen Augenblick.

00:50:34 [W] Sicherheit war ein großer Teil dieser klinischen Studie, der primäre Endpunkt der Studie konzentrierte sich auf die Sicherheit.

00:50:46 [W] Qr-421a erwies sich mit über 3700 Teilnehmern und Follow-up-Tagen als sicher und gut verträglich.

00:50:56 [W] Das entspricht einer jahrelangen Nachbeobachtung in dieser Studie.

00:51:02 [W] Wichtig, nein, ernst. Unerwünschte Ereignisse wurden festgestellt und es gab keine Fälle von Entzündungen.

00:51:11 [W] Ein Patient war jedoch fleißig an einer Verschlechterung bereits bestehender Katarakte. In beiden Augen. Beide gelten als nicht behandlungsbedingt, Katarakte treten bekanntermaßen als Teil davon auf.

00:51:27 [W] Vorbestehende Katarakte in beiden Augen.

00:51:30 [W] Beide gelten als nicht behandlungsbedingt, Katarakte treten bekanntermaßen als Hintergrund beim Usher-Syndrom auf und treten bei über dreißig Prozent der Patienten auf.

00:51:47 [W] In der Studie wurden keine neuen Katarakte berichtet.

00:51:54 [W] Zystoide Makula, Ödeme oder c und e sind häufig mit Retinitis assoziiert. Pigmentosa und ist bei über 30 Prozent Teil des natürlichen Krankheitsverlaufs

00:52:09 [W] A der Krankheit und über 30% der Patienten.

00:52:14 [W] Es wird normalerweise angemessen mit topischen Augentropfen behandelt.

00:52:21 [W] Nein, während der Studie traten neue Fälle von CME auf.

00:52:26 [W] Allerdings wurde ein Patient, der bereits CME hatte, in die Gruppe aufgenommen und erhielt eine Dosis von 200 Mikrogramm, wobei das CME während der Studie fortschritt, aber war

00:52:41 [W] Smile to unmanaged with standard of care treatment.

00:52:46 [W] Wir freuen uns daher zu sehen, dass QR-421a in dieser Studie ein so sicheres und gut verträgliches Profil zeigt.

00:53:21 [W] Aber was bedeutet die erfolgreiche klinische Studie?

00:53:26 [W] Neben dem Sicherheitsprofil.

00:53:27 [W] Wir haben uns auch die am besten korrigierte Sehschärfe angesehen und was wir gesehen haben, war eine Stabilisierung in allen behandelten Augen.

00:53:39 [W] Jetzt. Dies ist erwähnenswert.

00:53:42 [W] Es war nur 11 Injektion.

00:53:47 [W] Bei den Behandelten wurde eine Stabilisierung des Sehvermögens beobachtet. Ich gegen Rückgang in der unbehandelten.

00:53:55 [W] Ich bei allen Patienten.

00:53:57 [W] Wir sahen also eine Verschlechterung des unbehandelten I im Einklang mit dem Naturverlauf.

00:54:05 [W] Auf der Sehtafel war jeweils ein Sechs-Buchstaben-Vorteil zu sehen.

00:54:10 [W] Und es war Woche 72. Es war ein Vorteil aus acht Buchstaben, der eine anhaltende Wirkung zeigte, die mit der langen Halbwertszeit von QR-421a übereinstimmte.

00:54:28 [W] Alle behandelten Teilnehmer hatten ein breites Spektrum an Sehverlust oder Sehschärfe.

00:54:36 [W] Daher war es großartig, eine Stabilisierung wie diese zu sehen, aber wir haben noch etwas mehr gelernt.

00:54:46 [W] Dass die Veränderung der b.c., A. bcva-Reaktion von der fortgeschrittenen Krankheitspopulation angetrieben wird.

00:54:57 [W] Nun, warum ist das wichtig?

00:54:58 [W] Wir beginnen zu lernen, was wir in unserer nächsten Phase der klinischen Entwicklung tun könnten.

00:55:06 [W] Jetzt sahen wir die Stabilisierung im behandelten Auge nach einer Einzeldosis.

00:55:14 [W] Fokussierung auf die fortgeschrittene Bevölkerung, der Nutzen für das Auge. Diagramm war eine mittlere Änderung von 9,3 Buchstaben.

00:55:25 [W] Ich meine, der Unterschied von 13 Buchstaben in Woche 72, der Endpunkt in Woche 72 ist daher die Zeit, in der wir uns den primären Endpunkt in unserer Phase 3 ansehen werden.

00:55:40 [W] Mi in der fortgeschrittenen Bevölkerung, eine Studie namens Sirius.

00:55:48 [W] Daher haben wir Endpunkte identifiziert, die wir den Aufsichtsbehörden vorschlagen können, die sie für ein neues Medikament für die Zulassung des Produkts in Betracht ziehen können.

00:56:02 [W] Diese sind bcva für die fortgeschrittene Bevölkerung und für die frühe gemäßigte Bevölkerung.

00:56:11 [W] Wir betrachten stattdessen die statische Perimetrie.

00:56:17 [W] Wir haben gesehen, wie die Teilnehmer auf Endpunkte oder Maßnahmen reagierten, die sich auf ihr Ausgangsstadium der Erkrankung beziehen.

00:56:24 [W] Und wir haben auch gesehen, dass sich die verschiedenen Endpunkte in Übereinstimmung miteinander bewegen.

00:56:34 [W] In dieser Stellar-Studie haben wir also alle Informationen gesammelt.

00:56:37 [W] Wir müssen in die entscheidende Phase vordringen und der Registrierung dieses Medikaments für Patienten näher kommen.

00:56:54 [W] Auf dieser Folie haben wir also das Studiendesign für Sirius gezeigt.

00:56:58 [W] Dies ist bei fortgeschrittenen Patienten der Fall.

00:57:01 [W] und wenn emittiert, den Protokollen für Phase-2-, 3-Studien unterzogen,

00:57:10 [W] die FDA stimmte unserem vorgeschlagenen sechsmonatigen Dosierungsintervall zu und bestätigte dies angesichts des Sicherheitsprofils. Wir müssen nicht mehr dosieren.

00:57:26 [W] Diese erste Studie mit dem Namen Sirius wird sich also auf die fortgeschrittene Bevölkerung konzentrieren und bcva als primären Endpunkt verwenden.

00:57:37 [W] Der zweite Versuch, den ich gleich zeigen werde, ist ähnlich, wird aber in der frühen bis mittelschweren Bevölkerung durchgeführt und verwendet statische Perimetrie als die

00:57:53 [W] Und verwenden Sie die statische Perimetrie als primären Endpunkt.

00:57:59 [W] Diese beiden Populationen hatten unterschiedliche Eigenschaften.

00:58:04 [W] Also haben wir uns entschieden, es zu strukturieren. Als zwei parallele Studien, die uns zwei Torschüsse geben werden, zur Registrierung.

00:58:15 [W] Die ernsthafte Studie verwendet also den Goldstandard von bcva, da wir wissen, dass nur Menschen mit fortgeschrittener Krankheit auf diesen Endpunkt reagieren können.

00:58:30 [W] Es werden nur Patienten eingeschlossen, die bei Baseline einen gewissen Verlust der Sehschärfe aufweisen.

00:58:40 [W] Die Patienten in dieser Studie haben eine Sehschärfe von 20/40 oder schlechter, was bedeutet, dass sie alles lesen können, außer die kleinsten Linien auf der Sehtafel der Teilnehmer der klinischen Studie

00:58:56 [W] Die Arme erhalten eine von zwei verschiedenen Dosen von QR-421a. Alle sechs Monate, der primäre Endpunkt hier, bcva und angesichts der beobachteten Effektgröße in

00:59:10 [W] Und wir gehen davon aus, dass der Endpunkt nach 18 Monaten Nachbeobachtung bewertet wird.

00:59:16 [W] Das Ziel wird sein, das bcva in den mit QR-421a behandelten Augen zu stabilisieren. Während erwartet werden könnte, dass sich der Querlenker verschlechtert und mit dem übereinstimmt

00:59:31 [W] Die Krankheit.

00:59:34 [W] Da bcva der Goldstandard in der Augenheilkunde ist, ist die Arzneimittelentwicklung. Eine positive Nutzen-Risiko-Anzeige auf bcva würde QR-421a unterstützen

00:59:49 [W] Bei Patienten liegt bei uns eine Exon 13 Mutation vor.

00:59:58 [W] Parallel dazu wird dies also sehr ähnlich aussehen. Aber das ist Celeste die Studie bei frühen bis mittelschweren Patienten.

01:00:08 [W] Und hier ist der primäre Endpunkt die statische Perimetrie, gemessen am 12. Monat, Punkt 20.

01:00:18 [W] Einer der wichtigsten sekundären Endpunkte wird ein Mobilitätskurs und vielleicht auch OCT sein.

01:00:27 [W] Dies ist die optische Kohärenztomographie, die die Netzhautdicke betrachtet.

01:00:35 [W] Das Ziel hier wird es sein, eine Verbesserung der statischen Perimetrie im Einklang mit den behördlichen Zulassungsschwellendaten aus der Stellar-Studie zu sehen.

01:00:47 [W] Daher planen wir für beide Studien die primäre Ablesung nach wiederholter Verabreichung, könnten jedoch in Betracht ziehen, den Zeitpunkt anzupassen oder eine Zwischenanalyse hinzuzufügen.

01:01:01 [W] Sobald wir eine Linie haben, diese Pläne.

01:01:03 [W] Mit den Reglern.

01:01:08 [W] Jetzt weiß ich etwas Spannendes.

01:01:13 [W] Zu einem Namen für unser Molekül.

01:01:16 [W] Es ist mir eine Freude, Sie darüber zu informieren.

01:01:18 [W] Es ist ein bisschen exklusiv.

01:01:20 [W] Dies ist die neueste Nachricht, dass die Weltgesundheitsorganisation Ultevursen zugelassen hat.

01:01:30 [W] Das ist alles, um als Name für dieses Molekül zu gelten. Was passiert ist

01:01:43 [W] ob wir Vorschläge für diesen internationalen, nicht proprietären, vorrangigen geschützten Namen machen und wer seine Zustimmung gibt.

01:01:58 [W] Ich freue mich sehr, Ihnen diesen Meilenstein mitzuteilen.

01:01:59 [W] Es bringt uns dem Ziel, ein echtes Produkt zu werden, einen Schritt näher.

01:02:05 [W] Also zum Schluss möchte ich ein riesiges sagen.

01:02:09 [W] Vielen Dank an die Autoren-Assurance-Koalition an Krista und Nancy für die Einladung von ProQR, mitzukommen, und auch an Sie alle, die zugehört und uns auf dieser Reise in die Genomik begleitet haben.

01:02:25 [W] Ich versuche gerne, alle brennenden Fragen zu beantworten, die Sie haben könnten.

01:02:28 [W] Danke schön.

01:02:37 [W] Vielen Dank Geschichte.

01:02:39 [W] Hier spricht Krista Vasi.

01:02:41 [W] Und ja, wir haben viele Fragen, und ich weiß, dass Sie auch Ihren, Ihren Kollegen Andrew Bolan von ProQR dabei haben.

01:02:53 [W] Wir haben also viel Fachwissen hier, um diese Fragen zu spüren.

01:02:58 [W] Andy, wink kurz.

01:03:00 [W] Da ist er. In Ordnung, also

01:03:05 [W] Mal sehn.

01:03:06 [W] Ich weiß, Andy, du hast die Fragen auch beobachtet, als sie durchkamen, und es könnte das Beste sein. Wenn Sie Ihre Bestellung annehmen, Ihre bevorzugte Bestellung. Ja, absolut.

01:03:18 [W] Hi, hier spricht Heidi, Bowling.

01:03:20 [W] Es ist schön, heute bei dir zu sein.

01:03:22 [W] Ich denke, ich und Doreen können diese Fragen durcharbeiten.

01:03:26 [W] Wir könnten also einfach ein kurzes Q&A machen, während wir viele der Fragen durchgehen.

01:03:30 [W] Wir hoffen, dass wir in der, in der Präsentation geantwortet haben, aber wir können.

01:03:35 [W] Durch sie Schritt für Schritt. Die erste, die wir haben, ist Doreen, ich habe Usher 2A.

01:03:41 [W] Mein Augenarzt wird keinen Gentest zur Bestätigung durchführen. Welche anderen Möglichkeiten habe ich, in Western, North Carolina zu leben?

01:03:48 [W] Naja, den nehme ich.

01:03:50 [W] Mike, schön.

01:03:53 [W] Vielen Dank Geschichte.

01:03:54 [W] Das ist Krista. Vazhi, spricht.

01:03:56 [W] Und ja, wir haben viele Fragen, und ich weiß, dass Sie auch Ihren, Ihren Kollegen Andrew Bolan von ProQR dabei haben.

01:04:08 [W] Wir haben also viel Fachwissen hier, um diese Fragen zu spüren.

01:04:14 [W] Andy, wink kurz.

01:04:16 [W] Da ist er. In Ordnung, also

01:04:21 [W] Mal sehn.

01:04:21 [W] Ich weiß, Andy, du hast die Fragen auch beobachtet, als sie durchkamen, und es wäre vielleicht am besten, wenn du deine Bestellung in deiner bevorzugten Bestellung entgegennimmst.

01:04:33 [W] Ja, absolut. Hi, hier spricht Abby, Bowling.

01:04:36 [W] Es ist schön, heute bei dir zu sein.

01:04:38 [W] Ich denke, ich und Doreen können diese Fragen durcharbeiten.

01:04:41 [W] Wir könnten also einfach ein kurzes Q&A machen, während wir viele der Fragen durchgehen.

01:04:45 [W] Wir hoffen, dass wir in der, in der Präsentation geantwortet haben, aber wir können.

01:04:50 [W] Durch sie Schritt für Schritt. Die erste, die wir haben, ist Doreen, ich habe Usher 2A.

01:04:56 [W] Mein Augenarzt wird keinen Gentest zur Bestätigung durchführen. Welche anderen Möglichkeiten habe ich, in Western, North Carolina zu leben?

01:05:04 [W] Naja, den nehme ich.

01:05:05 [W] Mike, schön.

01:05:06 [W] Vielen Dank für die Frage.

01:05:07 [W] Die Stiftung zur Bekämpfung der Blindheit führt ein wunderbares Open-Access-Gentestprogramm durch. Und wirklich, ich bin ein wenig schockiert zu hören, dass Ihr Arzt mir nicht helfen wird, diesen nächsten Schritt zu tun, da er als Doreen ist.

01:05:20 [W] Es ist ein entscheidender Schritt in der genomischen Medizin, den wir entwickeln, dass Sie Ihr genetisches Gen kennen müssen. Also würde ich wahrscheinlich einen anderen Arzt aufsuchen und wirklich versuchen, die Stiftung zur Bekämpfung der Blindheit vorzuschlagen

01:12:59 [W] Aktion, die Blindheit bekämpft, macht ein wunderbares Open. Greifen Sie auf das Gentestprogramm zu. Und wirklich, ich bin ein wenig schockiert zu hören, dass Ihr Arzt mir nicht helfen wird, diesen nächsten Schritt zu tun, wie es Doreen vorstellte.

01:13:12 [W] Es ist ein entscheidender Schritt in der Genommedizin.

01:13:15 [W] dass wir entwickeln, dass Sie Ihr genetisches Gen kennen müssen.

01:13:20 [W] Also würde ich wahrscheinlich einen anderen Arzt aufsuchen und wirklich versuchen, die Stiftung zur Bekämpfung der Blindheit vorzuschlagen. Kostenloser Gentest.

01:13:30 [W] Die nächste Frage ist Doreen.

01:13:34 [W] Was ist unser idealer Kandidat für die klinische Studie?

01:13:38 [W] Ich denke, Sie haben ein wenig über die Zulassungskriterien gesprochen. Aber haben Sie dem noch etwas hinzuzufügen?

01:13:44 [W] Hallo, das ist Doreen.

01:13:46 [W] Ja, das Entscheidende ist, dass Sie beide klinisch diagnostiziert sind und dass Sie ein generisches Profil haben, das diese Art von uns Chewie bestätigt.

01:14:00 [W] Ausgezeichnet, 13-Mutation.

01:14:03 [W] Das ist absolut entscheidend, weil der Ultevursen zielgerichtet ist.

01:14:10 [W] für diese Subpopulation.

01:14:15 [W] Andere Dinge, die von Interesse sein könnten, ist das Alter.

01:14:19 [W] Wir begannen damit, nur die erwachsene Bevölkerung zu betrachten und dank des Feedbacks aus der Community. Wir haben schnell gemerkt, dass wir das reduzieren müssen.

01:14:30 [W] Wenn Sie also jetzt 12 Jahre oder älter sind, können Sie an dieser Testversion teilnehmen.

01:14:40 [W] Das ist großartig.

01:14:40 [W] Danke schön.

01:14:41 [W] Die nächste Frage von Mark Tailed ist, welche Art von Tieren getestet wurde, was richtig ist.

01:14:50 [W] Und wissen Sie, wir haben viele Informationen auf unserer Website, wenn Sie dem nachgehen möchten, aber wir haben alle Sicherheitselemente erledigt, die wir brauchten, um zu Studien am Menschen zu gelangen, und Stellar war das erste in Studien am Menschen.

01:15:05 [W] Das während von Brian, was?

01:15:08 [W] Prozentsatz von uns, die von der Behandlung von Exon 13 betroffen sind

01:15:13 [W] Hallo Doreen, nochmal.

01:15:16 [W] Es ist ein kleiner Prozentsatz.

01:15:20 [W] Es ist wahr.

01:15:20 [W] Wir hoffen, dass wir mit dieser Mutation beginnen können, erwarten dies jedoch in der zukünftigen Arzneimittelentwicklung.

01:15:31 [W] Wir werden uns verschiedene Mutationen ansehen.

01:15:33 [W] Ich kenne den genauen Prozentsatz nicht, aber wir nehmen ein bisschen nach dem anderen. Bringen, was wir können.

01:15:43 [W] Sie die Patienten und ich füge dem nur noch hinzu. Weißt du, die spezifische Technik von Exxon 30 spricht von Andrew Andy, die spezifische oder Krista.

01:15:54 [W] Willst du reinkommen?

01:15:55 [W] Haben wir unseren Dolmetscher zurück?

01:15:57 [W] zurück? Nein. Oh, gut Dolmetscher nicht auftreten. Also nur eine Sekunde.

01:16:03 [W] Ich entschuldige mich.

01:16:05 [W] Dina ist jetzt zurück, Melissa.

01:16:08 [W] Weißt du was das ist?

01:16:10 [W] ist? Ich glaube, Melissa übernimmt. Okay.

01:16:12 [W] Gut.

01:16:14 [W] Okay, sandiges Sprechen hier während ziemlich gut erklärt, wissen Sie, das Überspringen von Exon 13 in seiner Spezifität ist, dass wir versuchen, einen funktionierenden Usher in Protein zu schaffen. Und wenn also

01:16:29 [W] Etwa dreizehn, zwölf und vierzehn können zusammenkommen und diesen kleineren, aber funktionierenden Usher schaffen.

01:16:41 [W] Nächste Frage, Doreen.

01:16:46 [W] Haben Sie gesagt, dass die bevorstehende klinische Studie zwei Jahre dauern wird und so weiter?

01:16:53 [W] Wir haben auch schon zwei Jahre gemacht.

01:16:56 [W] Ich spreche Doreen.

01:16:58 [W] Bei der ersten klinischen Studie haben wir die Patienten zwei Jahre lang begleitet.

01:17:04 [W] Jahre. Sie haben also richtig gehört, die Phase zwei, drei Versuche, die gerade begonnen haben. Wir werden die Patienten wieder für mindestens zwei Jahre begleiten.

01:17:18 [W] Außerdem haben wir es noch nicht erwähnt.

01:17:20 [W] Wir stellen Open Access durch eine Erweiterungsstudie bereit.

01:17:26 [W] Damit Patienten, die bereits in der ersten Studie behandelt wurden, weiterhin behandelt werden können, bis die Behandlung allgemein verfügbar ist.

01:17:40 [W] Danke schön.

01:17:41 [W] Es spricht nur hier, Philly gibt die Figur weiter.

01:17:46 [W] Drei der PDF, die ProQR mit den Ergebnissen der Stellar-Studie am Ende von achtundvierzig Wochen veröffentlichte, nützen den Unbehandelten.

01:17:54 [W] Ich war höher als die Behandelten.

01:17:55 [W] Ich wie kann das sein?

01:17:56 [W] Ich kann, ich kann einen Stich darauf haben. Wir haben also gesehen, dass das Medikament nach einer Weile nachlässt, und das war ein entscheidender Teil, den wir in unserer Entwicklung verstehen mussten, weil es tatsächlich zeigte, dass das von uns entwickelte RNA-Medikament nicht dauerhaft ist.

01:18:04 [W] Es verändert nicht Ihre DNA.

01:18:06 [W] Sie müssen es also immer wieder haben, und das ist eine der kritischen Informationen. Wir haben Sirius und Celeste für unsere Phase-3-Studien zusammengebracht.

01:18:18 [W] Die nächste Frage, gehen Sie nach unten.

01:18:25 [W] Abgesehen von diesen wenigen.

01:18:26 [W] Welche Bedeutung hat nur?

01:18:30 [W] Das ist von Monika.

01:18:31 [W] Danke Monika. Welche Bedeutung hat es, nur bcva in Bezug auf Usher-Patienten zu messen, die möglicherweise keine Sehschärfeprobleme haben, sondern eher Lichtempfindlichkeit und Tunnelblick?

01:18:42 [W] Von was? Ich verstehe. Unser pfx peripheres Sehen vor zentralem Sehen. Wirkt das Medikament nur, um den zentralen Sehverlust zu stabilisieren?

01:18:51 [W] Ich kann einen Stich haben.

01:18:53 [W] Ach Doreen.

01:18:53 [W] Möchten Sie gehen?

01:18:56 [W] Ich beim Sprechen.

01:18:57 [W] Wir betrachten also Patienten im Frühstadium der Erkrankung, die beginnen, eine Verringerung des peripheren Sehvermögens zu bemerken.

01:19:07 [W] Wir werden immer enger, so dass wir beginnen, Auswirkungen auf die Sehschärfe zu haben.

01:19:12 [W] Das Produkt sollte also für beide Bevölkerungsgruppen funktionieren, da das Problem dasselbe Problem ist.

01:19:24 [W] Wir reparieren und ersetzen das Protein, das für die Funktion der Photorezeptoren benötigt wird.

01:19:32 [W] Wir messen also unterschiedliche Parameter, weil sich die Patienten in unterschiedlichen Krankheitsstadien befinden.

01:19:38 [W] Ich sollte nur hinzufügen, dass wir die Hauptparameter, den primären Endpunkt, erwähnt haben, aber wir werden eine ganze Reihe von sekundären Endpunkten messen, um herauszufinden, was los ist.

01:19:55 [W] Danke schön.

01:19:56 [W] Torian ist Andy, der hier spricht. Nächste Frage. Aber bevor wir das tun, sind ein paar Fragen zu uns hereingekommen.

01:20:03 [W] Wie melden sich Menschen für klinische Studien an? Und wir sind sehr aufgeregt und es gibt viel Enthusiasmus, dass die klinische Entwicklung in verschiedenen Regionen unterschiedlich lange dauert.

01:20:13 [W] Wir planen, von den Vereinigten Staaten aus Standorte auf der ganzen Welt zu haben.

01:20:18 [W] Wir hoffen auf Kanada, Brasilien und viele Länder in Europa.

01:20:24 [W] Aber jedes Land hat einen ganz anderen Zeitplan für die Eröffnung eines klinischen Standorts.

01:20:30 [W] Wir haben an jedem dieser Standorte verschiedene ethische Aufgaben zu erledigen.

01:20:36 [W] Diejenigen von Ihnen auf der ganzen Welt, die fragen, wann sie können, wann Sie sich anmelden können, hoffen wir, dass unser Team von ProQR so bald wie möglich. Wir sind ein kleines Team und ein kleines Biotech, die so hart und so schnell wie möglich arbeiten.

01:20:51 [W] Wir arbeiten so hart und so schnell wie möglich daran, diese Zentren für klinische Studien zu öffnen, aber Sie werden sehen, dass immer mehr Informationen auf unserer Website unter [www.piofl.com](http://www.piofl.com) erscheinen.

01:21:05 [W] Dot-com und haben aktualisierte Informationen.

01:21:08 [W] Jedes Mal, wenn eine neue Website geöffnet wird.

01:21:10 [W] Verzeihung. Doreen und 22.

01:21:14 [W] Holen Sie sich das, weil es ziemlich viele gibt.

01:21:15 [W] Werfen wir einen Blick auf einige davon.

01:21:21 [W] Okay, das ist eine ziemlich gute Frage, die ich währenddessen beantworten kann. Ist von David.

01:21:27 [W] Ich habe Sie nach einem Gen gefragt. Ich bin derzeit eher betroffen. Mit RP als Teil meiner Krankheit.

01:21:32 [W] Mein Arzt sagt, ich habe kein X auf 13.

01:21:34 [W] Wie kann ich feststellen, ob die ausgezeichnete 13 für mich selbst geeignet ist?

01:21:37 [W] Mein genetisches Ergebnis.

01:21:38 [W] Danke schön.

01:21:38 [W] Nun, David, das ist eine fantastische Frage.

01:21:40 [W] Sie Ich würde und wir hätten ProQR Sie immer gebeten, mit Ihrem Arzt über klinische Forschung zu sprechen.

01:21:46 [W] kein Arzt und Doreen skizzieren. Sie hat keine Kilometer zurückgelegt. So

01:21:51 [W] Kann keine medizinische Beratung geben.

01:21:52 [W] Setzen Sie die Diskussion jedoch fort. Wenn Ihr Arzt gesagt hat, dass Ihnen das X auf 13 fehlt, ist das eine entscheidende Information.

01:22:00 [W] Und wissen Sie, die klinischen Tests sind nicht sehr einfach zu lesen, wenn ich ehrlich sein soll. Daher würde ich immer empfehlen, wenn möglich, eine genetische Beratung in Anspruch zu nehmen, sofern verfügbar, und mit anderen Ärzten wirklich zu sprechen

01:22:16 [W] Noch nicht. Leider können wir heute nicht direkt medizinische Ratschläge erteilen.

01:22:20 [W] In Ordnung, lass uns einen Blick darauf werfen.

01:22:23 [W] Doreen eins für dich von Brendan Brendan. Haben wir eine Umkehrung des Sehverlusts oder der Fähigkeit, im Dunkeln zu sehen, gesehen?

01:22:38 [W] Während des Sprechens haben wir also eine Stabilisierung gesehen.

01:22:43 [W] Ich denke, es ist der beste Weg, es zu sehen.

01:22:45 [W] Es gibt ein gewisses Maß an Variabilität, wenn die Tests mit etwas höheren, etwas niedrigeren Testergebnissen durchgeführt werden.

01:22:56 [W] Wir sind also immer vorsichtig, in der Studie nachzufragen. Zum Beispiel wird das bcva mehrmals wiederholt, damit wir sicher sind, dass wir es tun

01:23:07 [W] Nehmen Sie einen repräsentativen Wert.

01:23:10 [W] Also soweit würde ich sagen. Wir sehen eine Stabilisierung mit einer Injektion.

01:23:18 [W] Was wir nicht wissen, ist, was mit mehreren Injektionen passieren wird.

01:23:23 [W] Das ist also etwas, worüber wir wirklich aufgeregt sind.

01:23:30 [W] hier sprechen. Nächste Frage.

01:23:36 [W] Suchen.

01:23:38 [W] Wir haben ziemlich viele davon beantwortet.

01:23:40 [W] Während einer für Sie von Brendan Brendan. Haben wir eine Umkehrung des Sehverlusts oder der Fähigkeit, im Dunkeln zu sehen, gesehen?

01:23:46 [W] Während des Sprechens haben wir also eine Stabilisierung gesehen, ich denke, das ist der beste Weg, es zu sehen.

01:23:54 [W] Es gibt ein gewisses Maß an Variabilität, wenn die Tests mit etwas höheren und etwas niedrigeren Testergebnissen durchgeführt werden.

01:24:05 [W] Wir sind also immer vorsichtig, in der Studie nachzufragen. Zum Beispiel wird das bcva mehrmals wiederholt, damit wir sicher sind, dass wir es tun

01:24:16 [W] Nehmen Sie einen repräsentativen Wert.

01:24:18 [W] Also soweit würde ich sagen. Wir sehen eine Stabilisierung mit einer Injektion.

01:24:27 [W] Was wir nicht wissen, ist, was mit mehreren Injektionen passieren wird.

01:24:31 [W] Darauf freuen wir uns also sehr. Hier spricht Sandy.

01:24:40 [W] Nächste Frage.

01:24:44 [W] Suchen.

01:24:47 [W] Wir haben ziemlich viele davon beantwortet.

01:24:50 [W] Ah, das ist jetzt gut mit dieser Behandlung ausgeschlossen.

01:24:55 [W] in Zukunft eine andere genetische Behandlung bekommen und ich kann versuchen, diese Frage anzugehen, weil es eine Frage ist. Wir bekommen viel. Wir haben noch keine anderen Studien zum Usher-Syndrom gesehen.

01:25:09 [W] Was ist sehr nützlich mit RNA? Es nutzt sich ab.

01:25:14 [W] Soll ich also technisch oder hypothetisch sagen, dass es Sie nicht von zukünftigen DNA-basierten Untersuchungen ausschließen sollte?

01:25:20 [W] Therapien, was meiner Meinung nach der zugrunde liegende Teil der Frage ist. Abgesehen davon habe ich den Vorbehalt in LCA10 und Doreen sprach ziemlich aufgeregt über unsere Fortschritte in Bezug auf Daten

01:34:51 [W] Minze schließt eine weitere genetische Behandlung in der Zukunft aus, und ich kann versuchen, diese Frage anzugehen, weil es eine Frage ist. Wir bekommen viel.

01:35:00 [W] Wir haben noch keine anderen Studien zum Usher-Syndrom gesehen.

01:35:06 [W] Was ist sehr nützlich mit RNA? Es nutzt sich ab.

01:35:12 [W] Technisch oder hypothetisch sollte ich sagen, dass es Sie nicht von zukünftigen DNA-basierten Therapien ausschließen sollte, was meiner Meinung nach die Art der zugrunde liegenden ist.

01:35:20 [W] Ein verlogener Teil der Frage.

01:35:22 [W] Abgesehen davon habe ich den Vorbehalt in LCA10 und Doreen sprach über unsere Fortschritte und wir sind ziemlich gespannt auf die Daten bis Ende dieses Monats.

01:35:34 [W] Wir hoffen auf LCA10.

01:35:35 [W] Es gibt ein Konkurrenten-Gen oder eine DNA-Basis, und sie haben Personen ausgeschlossen, die eine RNA-Therapie in ihrer Studie erhalten haben.

01:35:45 [W] Es geht also wirklich von Unternehmen zu Unternehmen. Hypothetisch wäscht sich unser Medikament aus, oder

01:35:51 [W] Verlässt Ihr System schließlich, daher sollte es keinen Grund geben, warum Sie in Zukunft keine DNA-basierte Behandlung erhalten können.

01:35:57 [W] Kommt da eine etwas schwierige Frage, aber ich hoffe, ich habe sie zufriedenstellend beantwortet.

01:36:08 [W] Frage zum Preis des Medikaments, damit ich dieses auch nehmen kann.

01:36:13 [W] Das ist also eine häufige Frage, die wir bekommen. Wie Sie sich im Moment sicher vorstellen können. Die klinische Entwicklung von Ultevursen ist einfach zu früh, um über die Kosten der Behandlung nachzudenken.

01:36:25 [W] Dies wird wirklich an den Daten liegen und daran, wie wichtig die Medizin ist.

01:36:29 [W] Das kann sein, aber leider sind wir noch zu früh im Prozess, um überhaupt darüber nachzudenken.

01:36:38 [W] Richtig.

01:36:48 [W] Schauen wir uns doch einfach mal um.

01:36:49 [W] Wir haben viele dieser Fragen beantwortet.

01:36:54 [W] Hey, Doreen, vielleicht eins für dich von Ricardo.

01:37:03 [W] Hinzufügen. Das hier ist also, wir haben Ihnen die Daten hier nicht gezeigt. Sie können. Sie können es im Allgemeinen auf der Website einsehen. Wir haben gesehen, wir haben eine Stabilisierung gesehen. Sie sind bis zu sechs Monate und dann

01:37:18 [W] Und dann schien es Zeit für eine weitere Injektion zu sein, was einer der Gründe war. Wir wollten eine Spritze geben. Alle sechs Monate, um das zu halten

01:37:31 [W] Vielen Dank an unsere Knie, Andy spricht.

01:37:33 [W] Auch hier wieder.

01:37:34 [W] Die nächste Frage von Virginia ist sehr gut.

01:37:38 [W] Wie viele Injektionen verträgt der IOWA oder ist er lebenslang?

01:37:42 [W] Jetzt?

01:37:43 [W] Ich nehme einen schnellen Stich.

01:37:44 [W] Wirklich Sicherheitsdaten.

01:37:45 [W] Wir verfolgen dies sehr, sehr sorgfältig und tatsächlich werden Sirius und Celeste das erste Mal sein, dass wir mehrere Injektionen ins Auge machen, aber wir werden wirklich die Sicherheit in diesem Zusammenhang untersuchen und nur sehen, wie ich damit umgehen kann.

01:37:59 [W] Es spritzt. Doreen. Haben Sie dem etwas hinzuzufügen?

01:38:04 [W] Jubel sprechen nur um zu sagen, dass unter anderen Bedingungen die Häufigkeit der Injektion.

01:38:12 [W] So kann die gleiche Technik für verschiedene Krankheiten bis zu jeden Monat verwendet werden. Es ist eine sehr etablierte Technik.

01:38:23 [W] Wir verwenden ein geringes Injektionsvolumen mit einer sehr feinen Nadel, nur von erfahrenen Ärzten, die wissen, wie man die Technik anwendet.

01:38:36 [W] So ist es, es ist machbar.

01:38:38 [W] Ich denke, um die langfristige Verwaltung fortzusetzen.

01:38:44 [W] Danke Doreen.

01:38:45 [W] Es ist hier unten.

01:38:46 [W] Wir bekommen viele Fragen zum Warum, Exon 13 und wann andere Exons als nächstes kommen werden.

01:38:52 [W] Das ist eine sehr Standardfrage, die wir bekommen, und ich werde mich damit befassen.

01:38:56 [W] Ich bin von der Makin University oder vom Retinol Center.

01:39:00 [W] Es hat dies wirklich vorangetrieben, und wir haben ein wunderbares Webinar, das ich jedem empfehlen würde, es sich anzusehen, auf unserem YouTube-Kanal, wo wir wirklich in die Geschichte von Exon 13 einsteigen, und Sie wissen, nach meinem Verständnis und der Wissenschaft

01:39:15 [W] Das hat wirklich zum Exon-Skipping geführt.

01:39:13 [W] Wir haben gesehen, dass es wirklich effektiv ist, dass das Üben und das Überspringen selbst aus wissenschaftlicher Sicht nicht jedermanns Sache ist, denn letztendlich geht es wirklich

darum, einen funktionierenden Platzanweiser für Protein zu schaffen, und wir haben diesen Erfolg gesehen

01:39:28 [W] Team und Verbindung um 12 und 14.

01:39:29 [W] Das ist also der Unterschied.

01:39:31 [W] Ich würde jedem empfehlen, auf unsere YouTube-Seite zu gehen und sich das anzusehen.

01:39:33 [W] es ist sehr detailliert. Und wir haben einige davon, wir haben gerade einen wunderbaren Kerl namens Irwin und Bike von der Radley-Universität hier in den Niederlanden gewonnen, der tatsächlich Teil des ursprünglichen Teams war, das das Exon-Springen fand

01:39:49 [W] In diesem Fall geht er auf eine wunderbare Beschreibung der Wissenschaft ein. Überprüfen Sie das also bitte.

01:39:58 [W] Wir haben noch 10 Minuten Doreen. Schauen wir uns also ein paar weitere Fragen an.

01:40:13 [W] Heather fragt, ist das die letzte Phase der klinischen Forschung?

01:40:20 [W] Doreen hier, normalerweise sollten die von uns beschriebenen zulassungsrelevanten Studien ihre letzte Phase sein, um die Registrierungserlaubnis zu erhalten.

01:40:32 [W] Wir lernen immer noch viel darüber, was dieses Molekül kann.

01:40:38 [W] Wir würden also davon ausgehen, dass wir die Sicherheit weiterhin aufzeichnen werden, und es können andere Fragen auftauchen. Einer Frage wollen wir nachgehen.

01:40:50 [W] Wir hören oft, können wir Patienten unter 12 Jahren behandeln?

01:40:57 [W] Und das sind wir.

01:40:59 [W] Wir werden prüfen, ob wir das tun können.

01:41:04 [W] Das kann also bald eine Frage sein, oder es kann eine Frage sein, dass wir nur die Erlaubnis bekommen können, Kinder und jüngere Kinder zu testen.

01:41:14 [W] Toll.

01:41:14 [W] Danke schön. Doris, hier spricht Anjou.

01:41:20 [W] Emmanuel Ich habe gehört, dass es in Europa eine Phase-3-Studie geben wird und dass die Studie eine Scheingruppe haben wird.

01:41:28 [W] Also werde ich das im Handbuch starten. Absolut. Wir hoffen, unsere europäischen klinischen Prüfzentren Sirius und Celeste so schnell wie möglich im Jahr 2022 eröffnen zu können, und Doreen wird einen Schein verpassen.

01:41:43 [W] Zwei.

01:41:42 [W] Ja, die Kontrolle zu haben ist wirklich wichtig, um überzeugende Daten zu erhalten. Wenn Sie an einer Krankheit leiden, die von Patient zu Patient sehr unterschiedlich sein kann.

01:41:54 [W] Es ist ein Punkt, der nicht mit der Regulierungsbehörde verhandelt wird.

01:42:02 [W] Sie möchten wirklich sicher sein, den Patienten zu schützen, dass jeder Effekt, den wir sehen, ein echter Effekt und kein zufälliger Effekt ist. Und das ist der Grund.

01:42:12 [W] Sie bestehen darauf, dass wir eine Kontrolle haben, und in dieser Situation ist es ein Scheinkontrollgewebe.

01:42:21 [W] Wir konnten die der Sham-Gruppe zugewiesenen Nummern so klein wie möglich halten.

01:42:29 [W] Um die Gültigkeit des Prozesses zu wahren.

01:42:33 [W] Und das ist Andy, der hier spricht.

01:42:34 [W] Ich denke, das ist wirklich der Schlüssel. Wie Sie alle.

01:42:37 [W] Kommen Sie mit, die klinische Forschungsreise mit uns ist die Tatsache, dass wir bestimmte Dinge tun müssen, um sicherzustellen, dass die Daten sauber sind und dass wir so viel Wirkung wie möglich zeigen und Kontrollarme dabei eine Rolle spielen Gut.

01:42:52 [W] In den meisten Fällen eine behördliche Anforderung.

01:42:56 [W] Werfen wir einen Blick.

01:43:03 [W] Dies ist eine Frage von Sean, die positiven Ergebnisse von ProQR do zeigen, dass es eine 8-Buchstaben-Verbesserung gegenüber der Kontrolle von 72 Wochen gibt.

01:43:11 [W] Dies ist fast ausschließlich auf die Urkundenerzeugung der Unbehandelten zurückzuführen. Ich in der Tat, es gibt etwa acht Buchstaben Verschlechterung, die unbehandelt, ich das scheint extrem schnell. Würden Sie den Preis eines DJs, der normalerweise für uns ist, als eine Person betrachten?

01:43:26 [W] Theoretisch wird es keine Verbesserung des Sehvermögens geben. Und das beste Szenario ist eine Stabilisierung des Behandelten. Ich unabhängig von der individuellen Verschlechterungsrate.

01:43:35 [W] Möchtest du mich?

01:43:36 [W] Möchtest du das nehmen?

01:43:37 [W] Ja.

01:43:38 [W] beim Sprechen.

01:43:39 [W] Danke schön. Danke schön. Shawn für die Frage, die Verschlechterungsrate als Teil der natürlichen Krankheit Evolution.

01:43:48 [W] Wir teilten diese Beobachtung, dass es im Verlauf der Studie relativ schnell zu sein scheint, bitte bedenken Sie, dass es sich um eine kleine Anzahl von Patienten handelt

01:44:03 [W] I in sind zulassungsrelevante Studien.

01:44:02 [W] Wir steigen auf.

01:44:03 [W] Es werden insgesamt ungefähr 200 Patienten im Programm der Phase 2 3 sein, um zu versuchen, eine klare Vorstellung zwischen Behandelten und Nichtbehandelten zu bekommen.

01:44:16 [W] Für den ersten Teil teilen wir also mit, was Ihr eurer Meinung nach mit eurem Kommentar zum zweiten Teil übereinstimmt.

01:44:27 [W] Können wir etwas Besseres erwarten, als zu bleiben?

01:44:29 [W] Abelsierung, sobald die Photorezeptoren sich verschlechtern haben. Sie regenerieren nicht.

01:44:40 [W] Aus diesem Grund versuchen wir, die maximale Anzahl von Fotorezeptoren zu erhalten und sicher zu sein, dass wir dort zu ihrer Funktion beitragen können.

01:44:50 [W] Also gibt es auch einen Abschluss von dem, ich lerne,

01:44:59 [W] Und dies kann zu leichten Verbesserungen führen, aber ob es sich um eine wirklich nachhaltige Verbesserung handelt, ist noch viel zu früh zu sagen.

01:45:09 [W] Ich denke also, dass Stabilisierung unser unmittelbares Ziel ist, und wir werden sehr genau prüfen, ob wir etwas Besseres erreichen können.

01:45:22 [W] Das ist großartig.

01:45:23 [W] Danke schön. Spricht Andy?

01:45:24 [W] Das ist großartig.

01:45:25 [W] Doreen.

01:45:25 [W] Danke schön.

01:45:26 [W] Es ist wunderbar, eine so engagierte Gemeinschaft zu sehen.

01:45:28 [W] Wir versuchen durchzukommen.

01:45:29 [W] Ich übersetze auch ein bisschen für unsere lateinamerikanischen Community-Kollegen auf der Leitung.

01:45:37 [W] Es ist nichts wert. Wir hoffen, lateinamerikanische Seiten zu haben.

01:45:43 [W] Wir arbeiten derzeit mit Brasilien zusammen.

01:45:45 [W] Es ist jedoch erwähnenswert, dass wir dies tun. Wenn Sie für die Studie geeignet sind. Wir haben in der Vergangenheit Menschen erlaubt zu reisen.

01:45:53 [W] Nun, und zahlen Sie für die Unterkunft, das wird alles vom Sponsor übernommen, der uns für die Studie darstellt, um Sie zum richtigen Zentrum zu bringen.

01:46:00 [W] Es ist an dieser Stelle auch erwähnenswert, dass ich wirklich nicht weitermachen kann, ohne der Usher Coalition für all ihre Hilfe dabei zu danken.

01:46:10 [W] Wir haben gerade mit der Usher Coalition eine neue Initiative gestartet und das liegt mir als Verantwortlicher innerhalb von ProQR für Community Outreach sehr am Herzen

01:46:23 [W] Verwendung der Usher Usher-Registrierung.

01:46:26 [W] wirklich vor euch allen.

01:46:28 [W] Wie wir es heute tun und wirklich nutzen, um zu sehen, ob wir Sie zu unseren Prüfungen bringen können.

01:46:35 [W] Es ist nichts wert.

01:46:36 [W] Proqr.

01:46:37 [W] Wir fanden es sehr schwer, Angst zu rekrutieren. Lca10-Studien. Dies sind seltene Zustände.

01:46:42 [W] Das ist keine Herzkrankheit oder so etwas.

01:46:45 [W] So schnell wie möglich und bringen diese.

01:46:46 [W] Wir hoffen, dass Medikamente so schnell wie möglich für alle da sind, richtig?

01:46:52 [W] Ich werde aufhören zu schimpfen und mehr Fragen stellen, wenn wir hier in die Zielgeraden gehen.

01:46:58 [W] Doreen.

01:47:03 [W] Jim fragt, ich sehe, es gibt eine Seite in den USA.

01:47:07 [W] In Texas.

01:47:07 [W] Wird es andere Standorte in den USA geben, einschließlich des DC-Gebiets? Ich denke, ich kann diesen Jim nehmen. Wir hoffen, mehrere Standorte in den USA zu eröffnen, und wie ich bereits erwähnt habe, hat jeder Standort ein anderes Ethikverfahren und

01:47:22 [W] All die verschiedenen Genehmigungsverfahren, damit wir die gesamte Wissenschaft und Sicherheit abgezeichnet haben. Von dieser klinischen Seite.

01:47:30 [W] Wir tun es.

01:47:31 [W] hoffe, einige in Amerika zu haben. Achten Sie also auf unsere Webseite auf Updates, oder kontaktieren Sie mich direkt unter Patienteninfo auf ProQR.com. Und ich kenne viele von euch. Ich erkenne hier einige Namen. Fragen stellen, wer, wer hat uns geschrieben

01:47:46 [W] Danke, dass Sie sich gemeldet haben.

01:47:46 [W] Wir versuchen unser Bestes, um die Seiten so schnell wie möglich zu öffnen. Aber einige brauchen etwas länger als andere, was für die klinische Forschung normal ist.

01:47:59 [W] Ich denke, wir haben viele davon beantwortet.

01:48:08 [W] Ja, denke ich.

01:48:16 [W] Nicht wenige davon stellen medizinische Fragen, die sie leider nicht direkt beantworten können.

01:48:22 [W] Ich wünschte, das wäre der Fall.

01:48:32 [W] Lassen Sie mich überprüfen, ob das alles war. Lassen Sie mich die Chat-Funktion überprüfen, um zu sehen, was wir hier haben.

01:48:41 [W] Tragen Sie mit mir.

01:48:42 [W] Alle.

01:48:45 [W] Es gibt viele Fragen, also Entschuldigung.

01:48:50 [W] Das ist sehr gut.

01:48:51 [W] Christina fragt, gibt es Pläne, QR-421a auch ins Ohr zu injizieren, um zu sehen, ob es den Hörverlust beeinflussen kann?

01:49:00 [W] Soll ich die Doreen nehmen oder springen? Springen. Wieder? Ich kann.

01:49:05 [W] Das kann ich mal angehen.

01:49:06 [W] Im Moment konzentrieren wir uns also wirklich auf Ulteversen im Auge.

01:49:10 [W] Etwas, das Daniel wirklich wiederholt hat.

01:49:12 [W] Unser Fokus liegt also wirklich auf dem Auge oder dem Ich. Ich bekomme diese Frage oft, weil wir ein internes Komitee haben. Und eines unserer internen Ausschussmitglieder fragt wirklich auch nach dem Ohr.

01:49:28 [W] Was aber in Zukunft passieren wird, ProQR konzentriert sich im Moment nur auf das Auge und dadurch. Also werden wir das Ohr nicht so gut machen.

01:49:37 [W] Richtig.

01:49:44 [W] Bewusst. Wir haben noch eine Minute, Krista. Würden Sie, wir werden nicht zu all diesen Unglücklichen kommen.

01:49:48 [W] Ja, vielleicht viel Ruhe. Sie möchten an einer Übernahme teilnehmen.

01:49:51 [W] Hier spricht Krista.

01:49:53 [W] Ja, wir haben eine überwältigende Menge an Fragen erhalten.

01:49:58 [W] Das ist so aufregend.

01:49:59 [W] Genau das, was wir brauchen, um diese Begeisterung zu sehen.

01:50:02 [W] Ich werde mein Bestes tun, um alle Fragen zu erfassen, die wir möglicherweise nicht behandelt haben. Es gab viele, weißt du, Wiederholungen und alles, aber ich werde mein Bestes geben.

01:50:13 [W] Um das irgendwie zu dokumentieren und in der Lage zu sein, mit Einzelpersonen nachzufassen.

01:50:17 [W] Ich weiß, dass vieles davon individuelle Unterstützung und individuelle Art der medizinischen Gentestanalyse und alles ist.

01:50:25 [W] Das war also fantastisch.

01:50:27 [W] Das war so wunderbar.

01:50:29 [W] Ich möchte Ihnen, Doreen, und nochmals Andy für die Präsentation heute danken. Und teilen Sie diese wichtigen Informationen.

01:50:38 [W] Will, das ist ein Gespräch, weißt du, unter allen über 200 von uns, richtig?

01:50:42 [W] Setzen Sie sich mit der Usher-Syndrom-Koalition in Verbindung, wenden Sie sich an die Beschaffung und die Standorte der klinischen Studien, all das Zeug, sobald es eingeführt wird. Werden diese Informationen verfügbar werden.

01:50:52 [W] Aber die Koalition ist hier, um Sie alle dabei zu unterstützen, herauszufinden, ob dies etwas ist, das für Sie funktioniert, das Richtige für Sie ist und was die nächsten Schritte sein könnten.

01:51:04 [W] wir sind ressourcen. Bitte. Zögern Sie nicht, uns zu kontaktieren, und es wird eine Aufzeichnung dieses Webinars mit Transkripten bereitgestellt.

01:51:12 [W] All das auch. Also nochmals vielen Dank an alle, dass Sie daran beteiligt sind, und wir werden uns bald unterhalten.

01:51:23 [W] Haben Sie einen wunderbaren Rest Ihres Tages und Abends. Danke schön.