

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

[W] Oke.

[W] Hallo allemaal.

[W] Kijk, er komen veel mensen langs, we geven iedereen een minuut om in te loggen.

[W] Oke.

[W] Ik zie de cijfers nog steeds omhoog kruipen.

[W] We hebben een zeer grote opkomst vandaag.

[W] Dit is erg spannend.

[W] Ik geef de aanwezigen nog ongeveer 30 seconden om in te loggen en dan bespreken we de toegankelijkheidsfuncties die vandaag beschikbaar zijn voordat we naar de presentatie gaan.

[W] Oké, dus halo allemaal.

[W] Ik ben Krista Vasi en ik ben de uitvoerend directeur van de Usher Syndrome Coalition en ik heet jullie allemaal vandaag welkom voor deze presentatie voordat ik meer een welkom en introductie ga doen. Ik wil de toegankelijkheidsfuncties bespreken

[W] Iedereen heeft volledige toegang.

[W] We hebben Spaans gesproken taalvertaling, dus u kunt dat inschakelen door op het wereldbolpictogram op de onderste werkbalk te klikken en Spaans te selecteren.

[W] En als je Spaans selecteert, heb je de mogelijkheid om de originele Engelse audio te dempen.

[W] Ik geef onze Spaanse tolk een minuutje om dat te vertalen en laat de aanwezigen die Spaanse vertaalaudio aanzetten.

[W] [...Spaanse...]

[W] Oké, dus hopelijk springen onze Spaanssprekende vrienden nu op de Spaanse audio.

[W] Ik zal deze gelegenheid aangrijpen om mezelf en onze andere sprekers van vandaag eraan te herinneren dat er veel verschillende soorten tolken zijn.

[W] Ik moet bijpraten en mezelf ook identificeren wanneer ik spreek of een van de andere presentatoren, het is altijd goed om jezelf eerst te identificeren en dan te spreken.

[W] Laten we onze aandacht vestigen op de andere grote toegankelijkheidsfunctie van vandaag, namelijk Wordly.

[W] Dit is een door AI aangedreven vertaalsysteem dat dit webinar in meer dan 20 talen zal vertalen en om dat aan te zetten

[W] U kunt op de link klikken die we in de chatbox hebben gegeven, of u kunt op de pijl-omlaag klikken. Naast de live-knop, linksboven in je scherm en selecteer bekijken

[W] Op aangepaste livestreamingservice die een browsertabblad opent. Dat heeft het woord liegen.

[W] De Wordly-app waarmee u vervolgens uw taal kunt selecteren en de ondertiteling in uw taal kunt zien.

[W] Jij kan. Ook als er voor sommige talen opties zijn om naar jouw taal te luisteren.

[W] Luister ook naar The Voice. Dus hopelijk heeft iedereen toegang tot de Wordly-vertaling voor iedereen die ernaar zoekt.

[W] Voor ondertiteling en Engels. We hebben de live trance-transcriptie in Zoom ingeschakeld.

[W] Selecteer daarom het CC-pictogram onderaan. Rechts van het scherm op je Zoom-menubalk en je zet ondertiteling aan.

[W] U kunt ook ondertiteling instellingen selecteren en de grootte aanpassen aan uw visuele behoeften.

[W] Eens kijken, we hebben vandaag ook onze ASL-tolken bij ons.

[W] We hebben zowel Melissa als Dena en ik ben dol op Melissa en Dena om te zwaaien en zichzelf te identificeren.

[W] Hallo.

[W] Dus iedereen die tegenwoordig ASL-interpretatie gebruikt, kan Melissa en Dena vastpinnen.

[W] Ze zijn dus altijd zichtbaar op uw persoonlijke apparaat.

[W] Dit doe je door te klikken. De drie stippen bovenaan hun video en ik denk dat dat de verschillende toegankelijkheid dekt.

[W] Wat was dat?

[W] Goed is ondertiteling, werken en tolken zijn zichtbaar.

[W] Goed Spaans.

[W] Leer de Spaanse taal.

[W] Tolken zijn klaar.

[W] Ja.

[W] Ik zie veel ja's.

[W] Geweldig en geweldig.

[W] Ik maak van dit moment gebruik om Brian even voor te stellen.

[W] Hij is onze technische ondersteuning.

[W] Als je tijdens het webinar vragen of problemen hebt, kun je rechtstreeks met Brian chatten en hij kan je helpen.

[W] Oké, dus op naar de show, welkom weer. Iedereen voordat ik onze gasten van ProQR Therapeutics voorstel, wil ik een paar woorden zeggen om het belang

[W] van het moment aan te tonen.

[W] De Usher syndrome Coalition werd meer dan 10 jaar geleden opgericht met dit exacte moment in gedachten.

[W] Onze reden van bestaan is om de kloof tussen onderzoekers en mensen met het syndroom van Usher te overbruggen.

[W] In 2008. De Coalitie is opgericht met de oprechte overtuiging dat we steun kunnen vinden en iedereen met het Ushersyndroom kunnen verbinden.

[W] En zorg er vervolgens voor dat klinische proeven voor het Usher-syndroom succesvol zouden zijn.

[W] Mensen die met deze aandoening leven.

[W] simpel gezegd kan onderzoek niet plaatsvinden. Zonder u kunnen behandelingen niet zonder u worden ontwikkeld. De experts die leven met het syndroom van Usher.

[W] Daarom ben ik ongelooflijk enthousiast over deze presentatie van vandaag.

[W] Voor de eerste keer.

[W] Er is een klinische studie in de laatste fase van een behandeling voor het syndroom van Usher.

[W] Dit is een mijlpaal die erkend en gevierd moet worden.

[W] En terwijl deze specifieke klinische proef voor een specifieke populatie binnen onze bredere Gemeenschap is.

[W] Ik weet dat dit slechts het begin is van een nieuw tijdperk in onderzoek naar Ushersyndroom, waarin de coalitie uiteindelijk iedereen kan samenbrengen voor alle soorten Usher.

[W] Met het onderzoek dat hen ten goede komt.

[W] Dus ik ben zo blij om onze spreker vandaag voor te stellen.

[W] Doreen hout, van ProQR. Ze is onlangs bij het team gekomen en is de projectleider van de Ushersyndroom-onderzoeken waarover u vandaag zult horen.

[W] Dus, Doreen, ik ga het aan je doorgeven.

[W] Dank u.

[W] Dank u.

[W] Chris stap. Hallo allemaal.

[W] Goedenmiddag.

[W] Goedenavond.

[W] Mijn naam is Doreen Wood.

[W] Terwijl we deze covid dagen voortzetten.

[W] Ik doe.

[W] Hoop dat het goed met je gaat.

[W] Dit is mijn eerste kans om je te ontmoeten.

[W] Ik ben nieuw bij ProQR, ik kende oogheelkunde.

[W] In deze discussie vandaag.

[W] Ik wilde de Usher Coalition bedanken voor hun geweldige voortdurende samenwerking met Proqr.

[W] We beschouwen het als cruciaal om zulke sterke Partners te hebben die ons verantwoordelijk houden om onze klinische ontwikkeling te ondersteunen en ervoor te zorgen dat u de stem van ons krijgt.

[W] U, de gemeenschap, wordt vandaag luid en duidelijk gehoord in ProQR. Ik zal met je praten over wat we als een kleine.

[W] Biotech gevestigd in de Nederlandse stad Leiden en in Cambridge, Massachusetts. Wat doen we in RNA-wetenschap in het bijzonder bij het Usher-syndroom en andere genetische oogaandoeningen.

[W] Even mezelf voorstellen.

[W] Mijn rol is om het QR-421a-project voor onze aandelen te leiden.

[W] Mijn expertise ligt in het aansturen van de ontwikkeling van nieuwe medicijnen, om deze bij de patiënt te brengen. Net voordat ik de dia's deel. Ik wil zeggen.

[W] Ik hoop dat mijn Schots accent niet te sterk is.

[W] Aarzel niet om me te zeggen dat ik het rustiger aan moet doen of duidelijker moet spreken.

[W] Dus ik ga ongeveer 30 minuten praten, waardoor er veel tijd overblijft voor uw vragen.

[W] En ik kijk gewoon, je kunt een dia zien.

[W] Ja, dankjewel.

[W] Dit zijn toekomstgerichte verklaringen.

[W] Wie zijn we?

[W] ProQR Therapeutica?

[W] RNA-therapieën voor personen met een genetische oogaandoening met als missie het stoppen van gezichtsverlies, of zelfs het omkeren van enkele van de symptomen op het gebied van RNA-therapieën, ProQR.

[W] De voorhoede van het leveren van gerichte therapieën voor mensen met genetische oogaandoeningen, of het nu hun netvlies of achterkant van het oog is, zoals het Usher-syndroom, of Fuchs en etherische

[W] Dystrofie, dat is het hoornvlies of de voorkant van het oog.

[W] Ironie, therapieën, gebruik antisense antisense allemaal geleden. Nucleotiden meer over wat dat is.

[W] later. En deze zijn specifiek ontworpen om de onderliggende oorzaak van de ziekte in het RNA van een persoon te corrigeren om de ziekteprogressie te stoppen of zelfs symptomen om te keren.

[W] Dus RNA, we hebben het over ribonucleïnezuur en het is een essentieel onderdeel.

[W] Van alle levende cellen.

[W] Ik weet zeker dat velen van jullie nu hebben gehoord van RNA of mRNA vanwege de Pfizer- en moderna-vaccins.

[W] Ik was erg opgewonden om het vaccin te ontvangen om te zien hoe de wetenschap op grote schaal werd uitgerold.

[W] Het is dus heel anders dan hoe we de wetenschap toepassen.

[W] Het is nog steeds gaaf.

[W] Ironie wordt gebruikt voor vertaling.

[W] Dit is het proces waarbij eiwitten in de cel worden aangemaakt.

[W] RNA zelf wordt geproduceerd uit DNA.

[W] Weten wat DNA is dankzij Jurassic Park.

[W] We weten wat er gebeurt als je een Toads-DNA mengt met een dinosaurus-DNA en het is niet mooi en ironietherapie is ontworpen om de mutatie in de

[W] iemand met een genetische ziekte door de fout te corrigeren, kan het RNA vervolgens worden gebruikt om het eiwit te maken dat de cel nodig heeft om de onderliggende oorzaak weg te nemen

[W] Voorwaarde.

[W] Ga hier gewoon vooruit.

[W] Dus deze dia vertelt het verhaal van ons bedrijf ProQR werd in 2012 opgericht door uw huidige CEO.

[W] Daniël de Boer een paar jaar eerder. Daniel en zijn familie werden geconfronteerd met de diagnose cystische fibrose bij zijn pasgeboren zoon.

[W] Dit is een zeldzaamheid. Ongeneeslijke genetische ziekte Daniel.

[W] Hulp van experts op het gebied van medicijnontwikkeling en gevormde ProQR om mensen zoals zijn zoon te helpen.

[W] Toen er levensvatbare behandelingen bij cystische fibrose kwamen, keek Daniel naar andere gebieden die duidelijk waren.

[W] Hoge onvervulde behoefte.

[W] Op dit Reflectiepunt voor het bedrijf. We waren begonnen met klinisch werk en Leber congenitale amaurose type, 10, of LCA10 en daarom was de natuurlijke verschuiving daar.

[W] Tijd ProQR is verschoven.

[W] zijn focus op genetische oogziekten.

[W] Sinds 2017 zien we ProQR concentreren en brengen we klinisch onderzoek naar voren.

[W] Dat is onderzoek met.

[W] Nodig personen die leven met LCA10 met het syndroom van Usher uit voor een autosomaal dominante retinitis.

[W] Pigmentosa, en meest recent Fuchs endotheliale corneadystrofie.

[W] In januari vorig jaar hadden we onze fase twee, drie cruciale studie in LCA10 volledig ingeschreven, wat ons als bedrijf naar een nieuw tijdperk brengt waarin we

[W] Om bijvoorbeeld naar de regelgevende instanties te gaan, naar de FDA naar Ema en Europa om houtskool uit te stoten in het VK om een therapie te registreren in

[W] jij 22.

[W] Dus zoals Krista al zei, het is een zeer opwindende tijd voor de gemeenschap en voor ons als bedrijf.

[W] Naar schatting leven momenteel vijf miljoen mensen in de wereld met genetische oogaandoeningen, maar waarschijnlijk is het nog meer vanwege een gebrek aan bewustzijn van genetische tests,

[W] En publieke kennis voor de overgrote meerderheid van deze mensen.

[W] Er is geen behandeling beschikbaar voor het verlies van het gezichtsvermogen en de eventuele blindheid die kan optreden.

[W] Wij zijn van mening dat de beste manier om deze missie te vervullen is om RNA-therapieën voor genetische oogziekten te ontwikkelen.

[W] We hebben een platform gebouwd om deze zeer gerichte therapieën te ontwikkelen om de onderliggende oorzaak van de ziekte aan te pakken en het gezichtsvermogen te verbeteren.

[W] En met meer dan 300 genen, geïdentificeerd die genetische oogaandoeningen veroorzaken.

[W] Er is een enorme kans om therapieën te ontwikkelen voor mensen in nood, bijvoorbeeld, LCA10 neem ziekte. Dat veroorzaakt een fout een mutatie in de

[W] Elk vanwege de mutatie en het essentiële eiwit in de I kan niet functioneren of ontbreekt, en dit leidt tot de verslechtering van het licht, het detecteren van cellen

[W] Zoals het detecteren van cellen in het netvlies.

[W] dus op het gebied van RNA Therapeutics loopt ProQR voorop bij het leveren van gerichte therapieën voor mensen met genetische oogaandoeningen, onze RNA-therapieën, gebruik,

[W] Ik draag RNA-therapieën, gebruik antisense all ago-nucleotiden die specifiek zijn ontworpen om de onderliggende oorzaak van de ziekte in iemands toestand te corrigeren en om de ziekte te stoppen

[W] Of zelfs om symptomen om te keren.

[W] Dus wat zijn dit, al die antisense nucleotiden van vroeger, ze bestaan uit korte stukken synthetisch RNA, die chemisch zijn gemodificeerd om

[W] En hun opname in cellen.

[W] Deze techniek is een gevestigde aanpak om genetische ziekten te behandelen en is daar goedgekeurd.

[W] RNA-therapieën die tegenwoordig worden gebruikt om patiënten te behandelen.

[W] Dus, hoe leveren we de behandeling?

[W] Om een medicijn te laten werken. Eerst moet het in het lichaam komen.

[W] RNA-therapieën werken het beste. Als ze rechtstreeks in het aangetaste orgaan worden afgeleverd in het geval van aandoeningen van het netvlies, kunnen eventuele therapieën in het glasvocht worden geïnjecteerd

[W] Dat is de holte die bij deze toedieningsmethode is gevuld met de gelei-achtige vloeistof.

[W] Het staat bekend als introverte vitriool, injectie of IV T en het is een van de meest uitgevoerde procedures voor oogziekten.

[W] De procedure wordt uitgevoerd door artsen voor veelvoorkomende aandoeningen zoals leeftijdsgebonden maculaire degeneratie voor diabetische retinopathie en retinale veneuze occlusie.

[W] Dus IV T is anders dan subretinale injectie. De methode die wordt gebruikt voor genterapie, waarvoor delicate netvlieschirurgie vereist is.

[W] Wat is de procedure voor een interview?

[W] Spoor injectie?

[W] de hele procedure duurt ongeveer 10 tot 15 minuten en wordt alleen uitgevoerd in het kantoor van de dokter?

[W] Terwijl de patiënt in een stoel zit?

[W] Het oog is verdoofd, dus het doet geen pijn.

[W] Zodra het oog is voorbereid.

[W] Het individu zal worden gevraagd in een bepaalde richting te kijken.

[W] Terwijl het geneesmiddel met een zeer fijne naald in het witte deel van het oog wordt geïnjecteerd.

[W] Dus hoe kunnen we onze RNA-moleculen testen? Onze innovatie? Team is altijd op zoek naar nieuwe technieken.

[W] We gebruiken kleine huidbiopten van individuen om levende optische bekermodellen te maken om onze medicijnen te testen en te zien of we Target-betrokkenheid hebben.

[W] zelfs voordat het in iemands oog wordt geïnjecteerd.

[W] Over ironie. En wat is het verschil met DNA voor degenen op het webinar die de afbeelding misschien niet kunnen zien?

[W] Ik zal het onderaan beschrijven.

[W] We hebben een dubbele DNA-helix, zoals ik. Stel je voor. De meesten van ons kennen dit boven het DNA.

[W] We hebben een enkelstrengs RNA. Zoals eerder vermeld. Dit RNA wordt gebruikt voor translatie.

[W] In het proces waarbij eiwitten worden aangemaakt in een cel. RNA zelf wordt geproduceerd uit DNA in een proces dat transcriptie wordt genoemd.

[W] Genterapie.

[W] Brengt over het algemeen permanente wijzigingen aan in DNA-genterapie, werkt direct op het ziekteverwekkende gen en heeft vectoren nodig

[W] De doelcellen. Genbewerking verandert direct.

[W] Het DNA.

[W] Daarentegen werken RNA-therapieën op het niveau van RNA.

[W] Ze hebben een voorbijgaand effect en veranderen het genoom niet.

[W] Dus, antisense allemaal geleden, nucleotiden hebben geen vectoren nodig om toegang te krijgen tot de doelcellen.

[W] We komen er nog twee tegen. Dit later meer.

[W] Dus bedankt dat je geduld met me hebt om bij het deel van de lezing te komen waarvan ik denk dat het de meesten van jullie zal interesseren.

[W] Ons lopende onderzoek voor ons naar een gemedieerde retinitis Pigmentosa en Ushersyndroom.

[W] Qr-421a.

[W] Dat is de naam van de behandeling.

[W] Het is een onderzoek.

[W] RNA-therapie ontworpen om Exon 13 en het RNA over te slaan met als doel verlies van gezichtsvermogen te stoppen.

[W] Het is heel specifiek voor Exon 13.

[W] Dit is dus echt genetische wetenschap.

[W] Ik wil onze partners bij de stichting ter bestrijding van blindheid bedanken, die ons programma echt financieel hebben gesteund.

[W] dus een klein beetje over het verzekeren van het syndroom en de vooruitgang die we boeken

[W] We hebben het gehad over de wetenschap. En nu wil ik het hebben over het meest recente nieuws in maart. Afgelopen jaar.

[W] We waren verheugd om de positieve resultaten aan te kondigen van ons Usher-syndroom en retinitis-programma, een klinische studie, Stellar genaamd, die aan alle gestelde doelen voldeed.

[W] Dit markeert een cruciale mijlpaal in ons lopende onderzoek naar RNA-therapie voor onderzoek.

[W] Qr-421a een pakkende naam.

[W] Ik weet dat het het verlies van gezichtsvermogen lijkt te stoppen bij mensen met een mutatie in een specifiek deel van de boog naar een gen, het deel genaamd Exon 13.

[W] Qr-421a, het werkt door te binden aan de gemuteerde sectie en het is en sluit Exon 13 uit van het RNA.

[W] Ping.

[W] De cellen in het netvlies kunnen dan een iets kortere, maar functionele rush naar een eiwit produceren. De klinische proef Stellar was om te zien of dit het zicht zou kunnen stoppen of omkeren

[W] Zeker syndroom.

[W] Dit is dus een afbeelding van het ontwerp van de klinische proef. De verschillende fasen van klinische ontwikkeling hebben alles te maken met het verzamelen van gegevens en inzichten.

[W] Het is vermeldenswaard dat dit ontwerp bestond uit drie verschillende doses die werden getest bij 20 deelnemers aan klinische onderzoeken met een follow-upperiode van twee jaar.

[W] Deelnemers werden gerandomiseerd om QR-421a of Sean in één oog te ontvangen en het andere oog werd achtergelaten.

[W] onbehandeld als controle.

[W] Voor die Sharm. Randomiseer deelnemers die ik een dummy introverte echte injectie heb ondergaan.

[W] Er was dus geen penetratie van het oog.

[W] en de Sham. Arm wordt alleen gebruikt voor maskeringsdoeleinden.

[W] Dus wat bedoel ik met maskeren?

[W] Het is een manier van verbergen.

[W] Welke behandeling u de patiënt heeft gekregen om vooringenomenheid te verminderen.

[W] Gezien de verschillende winstpercentages van ziekteprogressie tussen deelnemers en het kleine aantal deelnemers aan experts. Geloof dat de beste controle de onbehandelde is,

[W] Ik zit in hetzelfde proces, deelnemer.

[W] Het doel van dit onderzoek met een enkele dosis was dus identificatie voor registratiedoeleinden. Wat doen die doseringsintervallen op basis van het begin?

[W] De duurzaamheid en het afnemend effect en de doelgroep voor de volgende fase van klinische ontwikkeling?

[W] En het positieve nieuws is dat de studie aan alle gestelde doelen heeft voldaan.

[W] We vonden ook al vroeg twee populaties. Matige ziekteprogressie en gevorderde ziekteprogressie bij. Dit is belangrijk en ik kom hier later op terug.

[W] Dus hier is de samenvatting van wat we zagen in deze Stellar-proef. Het was een fase 1, twee klinische proef om te testen of het de

[W] Om klinisch te testen of het QR-421a-molecuul veilig is en het effect op het gezichtsvermogen.

[W] Het geneesmiddel bleek veilig te zijn en werd goed verdragen zonder ernstige gevolgen.

[W] Bijwerkingen gemeld.

[W] Klinische proof of concept werd vastgesteld op de best gecorrigeerde gezichtsscherpte.

[W] dat is bcva of je weet het misschien. Zoals de ooggrafiek ook op statische perimetrie, die wordt gebruikt om retinol, gevoeligheid te meten.

[W] En deze werden ondersteund door belangrijke secundaire eindpunten zoals:

[W] OCT Imaging, die kijkt naar retina, dikte en microperimetrie.

[W] Bovendien hebben we de belangrijkste informatie verzameld om het programma vooruit te helpen, inclusief de juiste registratie, en de deuren te wijzen.

[W] Het te gebruiken doseringsinterval en de optimale onderzoekspopulatie zijn vastgesteld voor de volgende proef.

[W] Dus ik ben blij te kunnen zeggen dat we onszelf toen de uitdaging hebben gesteld om te beginnen.

[W] Pivotal Studies tegen het einde van vorig jaar.

[W] Eén was in de vroege tot matige patiëntenpopulatie, één in de groep met gevorderde ziekte.

[W] We hadden dus een zware uitdaging om tegen het einde van het jaar te beginnen, en ik ben erg blij te kunnen zeggen dat de eerste patiënten nu in december zijn gedoseerd.

[W] We hebben een voordeel gezien bij alle behandelde patiënten in de Stellar-studie.

[W] waaronder proefdeelnemers met zowel gevorderd als vroeg tot matig gezichtsverlies.

[W] En deze definitie tussen de twee groepen zal belangrijk zijn voor de volgende onderzoeksfasen.

[W] We hebben een volledige blog en een community-briefing op onze website.

[W] Als mensen geïnteresseerd zijn, lees dan meer.

[W] Geen, gezien Krista vertelde ons dat veel mensen iets wilden weten over risico's en veiligheid.

[W] Dit is een cruciaal onderdeel van klinisch onderzoek.

[W] Vertelde ons dat veel mensen iets wilden weten over risico's en veiligheid.

[W] Dit is een cruciaal onderdeel van klinisch onderzoek.

[W] Het is vermeldenswaard dat er altijd een risico is bij het uitvoeren van dit soort onderzoeken en ik hoop dat we u, door de veiligheidsaspecten door te nemen, kunnen laten zien hoe we deze klinische onderzoeken uitvoeren

[W] We maken deze klinische proeven zo veilig mogelijk.

[W] We nemen veiligheid zeer serieus en blijven samenwerken met regelgevende instanties en ethische commissies om ervoor te zorgen dat de deelnemers tijdens het onderzoek goed worden verzorgd.

[W] Ik bied mijn excuses aan.

[W] Ik denk dat we even de verbinding verloren hebben.

[W] Ja.

[W] Oké, een momentje.

[W] Veiligheid was een groot onderdeel van deze klinische proef, het primaire eindpunt van de studie was gericht op veiligheid.

[W] Qr-421a bleek veilig en goed te zijn en werd getolereerd, met meer dan 3700 deelnemers follow-updagen.

[W] Dat komt overeen met jaren follow-up in dit onderzoek.

[W] Belangrijk, nee, serieus. Bijwerkingen werden opgemerkt en er waren geen gevallen van ontsteking.

[W] Echter, een patiënt hard aan het werk van verergering van reeds bestaande cataracten. In beide ogen. Beide worden als niet-behandelingsgerelateerd beschouwd, het is bekend dat cataract optreedt als onderdeel van.

[W] Van reeds bestaande cataracten in beide ogen.

[W] Beide worden als niet-behandelingsgerelateerd beschouwd, het is bekend dat cataract optreedt als onderdeel van de achtergrond bij het Ushersyndroom en bij meer dan dertig procent van de patiënten voorkomt.

[W] In de studie werden geen nieuwe cataracten gemeld.

[W] Cystoïde maculaire, oedeem of c, en e wordt vaak geassocieerd met retinitis. Pigmentosa, en maakt in meer dan 30 procent deel uit van het natuurlijke beloop van de ziekte

[W] A van de ziekte en meer dan 30% van de patiënten.

[W] Het wordt meestal adequaat beheerd met actuele oogdruppels.

[W] Nee, tijdens het onderzoek deden zich nieuwe gevallen van CME voor.

[W] Echter, één patiënt die al CME had, werd opgenomen in de groep en ontving een dosis van 200 microgram, de CME vorderde tijdens het onderzoek, maar werd

[W] Glimlach naar onbeheerd met standaardzorgtherapie.

[W] We zijn dus verheugd te zien dat QR-421a zo'n veilig en goed verdragen profiel vertoont in deze studie.

[W] Maar wat betekent de succesvolle klinische proef?

[W] Naast het veiligheidsprofiel.

[W] We hebben ook gekeken naar de best gecorrigeerde gezichtsscherpte en wat we zagen was stabilisatie in alle behandelde ogen.

[W] Nutsvoorzieningen. Dit is vermeldenswaard.

[W] Het was maar 11 injecties.

[W] Bij de behandelde werd stabilisatie van het gezichtsvermogen waargenomen. Ik versus achteruitgang in het onbehandelde.

[W] Ik bij alle patiënten.

[W] We zagen dus een verslechtering van de onbehandelde I in lijn met de natuurlijke historie.

[W] Elk was er een voordeel van zes letters op de oogkaart.

[W] En het week 72. Het was een voordeel van acht letters dat een aanhoudend effect vertoonde dat consistent was met de lange halfwaardetijd van QR-421a.

[W] Alle behandelde deelnemers hadden een breed scala aan gezichtsverlies of gezichtsscherpte.

[W] Daarom was het geweldig om zo'n stabilisatie te zien, maar we leerden wel iets meer.

[W] Dat de verandering in b.c., A bcva-respons wordt aangedreven door de gevorderde ziektepopulatie.

[W] Waarom is dit belangrijk?

[W] We beginnen te leren wat we kunnen doen in onze volgende fase van klinische ontwikkeling.

[W] Nu zagen we de stabilisatie in het behandelde oog na een enkele dosis.

[W] Focussen op de gevorderde bevolking, het voordeel op het oog. Grafiek was een gemiddelde verandering van 9,3 letters.

[W] Ik bedoel verschil van 13 letters in week 72, het eindpunt van week 72 is dus de tijd dat we in onze fase 3 naar het primaire eindpunt gaan kijken.

[W] Mi in de gevorderde populatie, een studie genaamd Sirius.

[W] Daarom hebben we eindpunten geïdentificeerd die we kunnen voorstellen aan regelgevende instanties, die ze in overweging kunnen nemen voor een nieuw geneesmiddel, voor de goedkeuring van het product.

[W] Dit zijn bcva voor de gevorderde bevolking en voor de vroege gematigde bevolking.

[W] We kijken in plaats daarvan naar de statische perimetrie.

[W] We zagen de deelnemers reageren op eindpunten of maatregelen die verband houden met hun ziektestadium bij baseline.

[W] En we zagen ook dat de verschillende eindpunten in overeenstemming met elkaar bewegen.

[W] Dus in deze Stellar-proef hebben we alle informatie verzameld.

[W] We moeten vooruitgaan naar een cruciale fase, om dichterbij de registratie van dit medicijn voor patiënten te komen.

[W] Dus op deze dia lieten we het onderzoeksontwerp voor Sirius zien.

[W] Dit is bij gevorderde patiënten.

[W] en indien uitgezonden onderworpen aan protocollen voor fase 2, 3 studies,

[W] de FDA stemde in met ons voorgestelde doseringsinterval van zes maanden en bevestigde dat gezien het veiligheidsprofiel. We hoeven geen dosisvariaties meer te doen.

[W] Deze eerste proef genaamd Sirius zal zich dus richten op de geavanceerde populatie en bcva gebruiken als het primaire eindpunt.

[W] De tweede proef die ik zo dadelijk zal laten zien, is vergelijkbaar, maar zal in de vroege tot matige populatie zijn en statische perimetrie gebruiken als de

[W] En gebruik statische perimetrie als het primaire eindpunt.

[W] Deze twee populaties hadden verschillende kenmerken.

[W] Dus hebben we besloten om het te structureren. Als twee parallelle studies die ons twee schoten op doelen zullen geven, voor registratie.

[W] Dus de serieuze studie, het gebruikt de gouden standaard van bcva, omdat we weten dat alleen mensen met een geavanceerde ziekte op dit eindpunt kunnen reageren.

[W] Het omvat alleen patiënten die enig verlies van gezichtsscherpte vertonen bij baseline.

[W] Patiënten in deze studie hebben een gezichtsscherpte van 20/40 of erger, wat betekent dat ze alles kunnen lezen, behalve de kleinste lijnen op de ooggrafiek van deelnemers aan klinische proeven

[W] Arms krijgt een van de twee verschillende doses QR-421a. Elke zes maanden, het primaire eindpunt hier, bcva en gezien de effectgrootte waargenomen in

[W] En we verwachten het eindpunt te evalueren na 18 maanden follow-up.

[W] Het doel is om de bcva in de met QR-421a behandelde ogen te stabiliseren. Hoewel kan worden verwacht dat de bedieningsarm zal verslechteren en in lijn zal zijn met de

[W] De ziekte.

[W] Aangezien bcva de gouden standaard is in de oogheelkunde, is de ontwikkeling van geneesmiddelen. Een positieve baten-risico-uitlezing op bcva zou ondersteunen, QR-421a

[W] Voor patiënten bij ons aan een Exon 13 mutatie.

[W] Dus parallel zal dit er ongeveer hetzelfde uitzien. Maar dit is Celeste de studie bij vroege tot matige patiënten.

[W] En hier is het primaire eindpunt statische perimetrie, gemeten op 12 maanden, twintig punten.

[W] Een van de belangrijkste secundaire eindpunten zal een mobiliteitscursus zijn, en misschien ook OCT.

[W] Dit is de optische coherentietomografie die kijkt naar de dikte van het netvlies.

[W] Het doel hier zal zijn om een verbetering te zien in de statische perimetrie in overeenstemming met gegevens over de goedkeuringsdrempel van de regelgevende instanties van de Stellar-studie.

[W] Dus voor beide onderzoeken plannen we de primaire uitlezing na herhaalde dosering, maar kunnen overwegen om de timing aan te passen of een tussentijdse analyse toe te voegen.

[W] Zodra we een lijn hebben, deze plannen.

[W] Met de toezichthouders.

[W] Dus nu weet ik iets spannends.

[W] Naar een naam voor ons molecuul.

[W] Het is mij een genoegen u dit te laten weten.

[W] Het is een beetje exclusief.

[W] Dit is recent nieuws dat de WHO ultevursen heeft goedgekeurd.

[W] Dat is alles naar verson als de naam voor dit molecuul. Wat er gebeurt is

[W] is dat we suggesties doen voor deze internationale eigendomsnaam zonder eigendomsrecht en die hun goedkeuring geven.

[W] Ik ben erg enthousiast om u deze mijlpaal te laten weten.

[W] Het brengt ons een stap dichterbij het worden van een echt product.

[W] Dus tot slot zou ik willen zeggen een enorm.

[W] dank aan de auteur om een coalitie te verzekeren aan Krista en Nancy voor het uitnodigen van ProQR om mee te gaan en ook aan jullie allemaal om te luisteren en mee te gaan op deze reis met ons in genomische wetenschap.

[W] Ik ben blij om te proberen eventuele brandende vragen te beantwoorden.

[W] Dank u.

[W] Heel erg bedankt verhaal.

[W] Dit is Krista Vasi die spreekt.

[W] En ja, we hebben veel vragen die binnenkomen en ik weet dat u ook uw, uw collega Andrew Bolan van ProQR bij u heeft.

[W] We hebben hier dus veel expertise in huis om deze vragen te voelen.

[W] Andy, zwaai even.

[W] Daar is hij. Oké, dus

[W] Laten we kijken.

[W] Ik weet dat Andy ook naar de vragen keek terwijl ze binnenkwamen en dat is misschien het beste. Als u uw bestelling wilt opnemen, uw voorkeursbestelling. Ja, absoluut.

[W] Hallo, het is Heidi, bowling die hier spreekt.

[W] Het is heerlijk om vandaag bij je te zijn.

[W] Ik denk dat Doreen en ik deze vragen kunnen beantwoorden.

[W] Dus we kunnen gewoon een snelle snelle Q&A doen, terwijl we veel van de vragen doornemen.

[W] We hopen dat we antwoord hebben gegeven in de, in de presentatie, maar we kunnen.

[W] Via hen stap voor stap. Dus de eerste die we Doreen hebben, is dat ik Usher 2A heb.

[W] Mijn oogarts zal de genetische test niet doen om dit te bevestigen. Welke andere opties heb ik om in West, North Carolina te wonen.

[W] Nou, die zal ik nemen.

[W] Mieke, lief.

[W] Heel erg bedankt verhaal.

[W] Dit is Krista Vasi, sprekend.

[W] En ja, we hebben veel vragen die binnenkomen en ik weet dat u ook uw, uw collega Andrew Bolan van ProQR bij u heeft.

[W] We hebben hier dus veel expertise in huis om deze vragen te voelen.

[W] Andy, zwaai even.

[W] Daar is hij. Oké, dus

[W] Laten we kijken.

[W] Ik weet dat Andy je de vragen in de gaten hield terwijl ze ook binnenkwamen en het is misschien het beste als je je bestelling in de gewenste volgorde opneemt.

[W] Ja, absoluut. Hallo, het is Abby, bowling die hier spreekt.

[W] Het is heerlijk om vandaag bij je te zijn.

[W] Ik denk dat Doreen en ik deze vragen kunnen beantwoorden.

[W] Dus we kunnen gewoon een snelle snelle Q&A doen, terwijl we veel van de vragen doornemen.

[W] We hopen dat we antwoord hebben gegeven in de, in de presentatie, maar we kunnen.

[W] Via hen stap voor stap. Dus de eerste die we Doreen hebben, is dat ik Usher 2A heb.

[W] Mijn oogarts zal de genetische test niet doen om dit te bevestigen. Welke andere opties heb ik om in West, North Carolina te wonen.

[W] Nou, die zal ik nemen.

[W] Mieke, lief.

[W] Bedankt voor de vraag.

[W] De stichting voor de bestrijding van blindheid doet een prachtig Open Access genetisch testprogramma. En echt, ik ben een beetje geschokt om te horen dat uw arts me niet wil helpen deze volgende stap te zetten als Doreen.

[W] Gedateerd is het een cruciale stap in de genomische geneeskunde die we aan het ontwikkelen zijn, dat je je genetische gen moet kennen. Dus ik zou waarschijnlijk een andere arts zoeken en echt proberen de basis voor de bestrijding van blindheid naar voren te brengen

[W] Actie die blindheid bestrijdt, doet een prachtige Open. Toegang tot genetisch testprogramma. En echt, ik ben een beetje geschokt om te horen dat uw arts me niet wil helpen bij het nemen van deze volgende stap, zoals Doreen het voorstelde.

[W] Het is een cruciale stap in de genomische geneeskunde.

[W] dat we aan het ontwikkelen zijn, dat je je genetische gen moet kennen.

[W] Dus ik zou waarschijnlijk een andere arts zoeken en echt proberen de basis voor de bestrijding van blindheid naar voren te brengen. Gratis genetische testen.

[W] De volgende vraag is Doreen.

[W] Wat is onze ideale kandidaat voor de klinische proef?

[W] denk dat je het een beetje hebt gehad over de geschiktheidscriteria. Maar heb je daar nog iets aan toe te voegen?

[W] Hallo, dit is Dorien.

[W] Ja, het belangrijkste is dat jullie allebei klinisch gediagnosticeerd zijn en dat jullie een generiek profiel hebben dat dit soort Chewie bevestigt.

[W] Uitmuntend, 13 mutatie.

[W] Dat is absoluut cruciaal omdat de ultevursen het doelwit is.

[W] voor die subpopulatie.

[W] Andere dingen die interessant kunnen zijn om te weten, is de leeftijd.

[W] We begonnen te kijken naar alleen de volwassen bevolking en dankzij de feedback van de community. We realiseerden ons al snel dat we dat moesten verminderen.

[W] Dus nu, als u 12 jaar of ouder bent, komt u mogelijk in aanmerking voor deze proefperiode.

[W] Dat is geweldig.

[W] Dank u.

[W] De volgende vraag van Mark Tailed is wat voor soort dit op dieren is getest, wat correct is.

[W] En weet je, we hebben veel informatie op onze website als je dat wilt opvolgen, maar we hebben alle veiligheidselementen gedaan die we nodig hadden om tot proeven bij mensen te komen en Stellar was de eerste in menselijke studie.

[W] Dat tijdens van Brian, wat?

[W] percentage van ons dat het doelwit is van de behandeling van Exon 13

[W] Hoi Doreen, alweer.

[W] Het is een klein percentage.

[W] Het is waar.

[W] We hopen dat we met deze mutatie kunnen beginnen, maar we verwachten dat in de toekomstige ontwikkeling van geneesmiddelen.

[W] We zullen verschillende mutaties bekijken.

[W] Ik weet het exacte percentage niet, maar we nemen het beetje bij beetje. Brengen brengen wat we kunnen.

[W] Zij de patiënten en ik voeg daar nog aan toe. Weet je, de specifieke techniek van exon 30 is Andrew Andy die spreekt, de specifieke of Krista.

[W] Wil je binnenkomen?

[W] Hebben we onze tolk terug?

[W] rug? Nee. Oh, nou niet voorkomen tolk. Dus slechts één seconde.

[W] Ik bied mijn excuses aan.

[W] Dina is nu terug, Melissa.

[W] Weet je wat dit is?

[W] is? Ik denk dat Melissa het overneemt. Oke.

[W] Goed.

[W] Oké, Sandy die hier spreekt, heeft het vrij goed uitgelegd, weet je, de Exon 13 die in zijn specificiteit overslaat, is dat we proberen een functionerende Usher in eiwit te creëren. En dus als

[W] Zo'n dertien twaalf en veertien kunnen samenkomen en die kleinere maar functionerende Usher Usher in eiwit creëren en dat is wat klinische ontwikkeling probeert te zien of dat werkt.

[W] Volgende vraag, Doreen.

[W] Zei je dat de komende klinische proef twee jaar zal duren en zo?

[W] We hebben ook al twee jaar gedaan.

[W] Ik Doreen aan het woord.

[W] Dus de eerste klinische studie volgden we patiënten gedurende twee jaar.

[W] jaar. Dus je hebt het goed gehoord, de fase twee, drie proeven die net zijn begonnen. We volgen de patiënten weer voor minimaal twee jaar.

[W] Bovendien hadden we het er nog niet over.

[W] We bieden Open Access aan via een uitbreidingsstudie.

[W] Zodat patiënten die al in de eerste proef zijn behandeld, de behandeling kunnen blijven ontvangen totdat de behandeling algemeen beschikbaar komt.

[W] Dank u.

[W] Het spreekt hier alleen, Philly geeft het cijfer door.

[W] Drie van de PDF, de ProQR gepubliceerd met de resultaten van de Stellar-studie aan het einde van achtenveertig weken, het voordeel voor de onbehandelde.

[W] Ik was hoger dan de behandelde.

[W] ik hoe kan dit?

[W] Ik kan daar een stokje voor steken. Dus we zagen dat het medicijn na een tijdje afslijt en dat was een cruciaal onderdeel om te begrijpen in onze ontwikkeling, omdat het feitelijk aantoonde dat het RNA-medicijn dat we hebben ontwikkeld niet permanent is.

[W] Het verandert je DNA niet.

[W] Je zult het dus steeds opnieuw moeten hebben en dat is dus een van de cruciale stukjes informatie. We kwamen bij elkaar voor onze fase drie studies Sirius en Celeste.

[W] De volgende vraag, ga naar beneden.

[W] Behalve de weinige van deze.

[W] Wat is de betekenis van alleen?

[W] Dit is van Monica.

[W] Dank je Monica. Wat is de betekenis van alleen bcva meten met betrekking tot Usher-patiënten, die mogelijk geen problemen met de gezichtsscherpte hebben, maar eerder lichtgevoeligheid en tunnelvisie.

[W] Van wat? Ik begrijp het. Onze pfx perifere visie voor centrale visie. Werkt het medicijn alleen om het verlies van het centrale gezichtsvermogen te stabiliseren.

[W] Ik kan een steekje krijgen.

[W] Oh Dorien.

[W] Zou je willen gaan?

[W] ik tijdens het spreken.

[W] We kijken dus naar patiënten met een ziekte in een vroeg stadium die een vermindering van het perifere zicht beginnen te zien.

[W] We zullen steeds smaller worden, zodat we een impact zullen hebben op de gezichtsscherpte.

[W] Het product zou dus voor beide populaties moeten werken, omdat het probleem hetzelfde probleem is.

[W] We zijn bezig met repareren en vervangen het eiwit dat nodig is om de fotoreceptoren te laten werken.

[W] We meten dus verschillende parameters omdat de patiënten zich in een ander ziektestadium bevinden.

[W] Ik moet er alleen aan toevoegen dat we de belangrijkste parameters noemden, het primaire eindpunt, maar we zullen een hele reeks secundaire eindpunten meten om erachter te komen wat er aan de hand is.

[W] Dank u.

[W] Torian is Andy die hier spreekt. Volgende vraag. Maar voordat we dat doen, zijn er een paar vragen binnengekomen.

[W] Hoe melden mensen zich aan voor klinische onderzoeken. En we zijn enorm opgewonden en er is veel enthousiasme. klinische ontwikkeling duurt verschillende tijden in verschillende regio's.

[W] We zijn van plan om vanuit de Verenigde Staten over de hele wereld vestigingen te hebben.

[W] We hopen Canada Brazilië en heel wat landen in Europa ook.

[W] Maar elk land heeft een heel andere tijdlijn voor het openen van een klinische site.

[W] We hebben verschillende ethische stukken te doen op elk van die locaties.

[W] Diegenen van jullie over de hele wereld die vragen wanneer ze kunnen, wanneer je je kunt aanmelden, zal, we hopen zo snel mogelijk, ons team bij ProQR zijn. Wij zijn een klein team en een kleine biotech die zo hard en zo snel mogelijk werkt.

[W] Er wordt zo hard en snel mogelijk gewerkt om deze klinische onderzoekscentra open te krijgen, maar u zult zien dat er steeds meer informatie naar onze website komt op www.piofl.com.

[W] Dot-com en zal bijgewerkte informatie hebben.

[W] Elke keer dat er een nieuwe site wordt geopend.

[W] Sorry. Dorien en 22.

[W] Neem die maar, want er zijn er nogal wat.

[W] Laten we eens kijken naar enkele van deze.

[W] Oké, dit is best een goede, die ik hierbij kan beantwoorden. Is van Davy.

[W] Ik heb je een gen gevraagd. Ik heb er meer last van op dit moment. Met RP als onderdeel van mijn ziekte.

[W] Mijn dokter zegt dat ik geen X op 13 heb.

[W] Hoe kan ik zien of de excellente 13 voor mezelf is?

[W] Mijn genetisch resultaat.

[W] Dank u.

[W] Nou, David, dat is een fantastische vraag.

[W] u ik zou en wij zouden ProQR u altijd vragen om met uw arts te praten over klinisch onderzoek.

[W] geen arts en Doreen schetst. Ze heeft geen kilometers gemaakt. Dus

[W] Kan geen medisch advies geven.

[W] Ga echter door met de discussie. Als uw arts heeft gezegd dat u de X op 13 mist, is dat cruciale informatie.

[W] En weet je, de klinische tests zijn niet erg gemakkelijk te lezen als ik eerlijk mag zijn. Dus ik zou altijd aanraden om genetische counseling te krijgen, als die beschikbaar is, en om met andere artsen te praten om echt

[W] Nog niet. Helaas kunnen we vandaag niet direct medisch advies geven.

[W] Oké, laten we eens kijken.

[W] Doreen een voor jou van Brendan Brendan. Hebben we een omkering van het gezichtsvermogen gezien, gezichtsverlies of het vermogen om in het donker te zien?

[W] Dus tijdens het spreken hebben we stabilisatie gezien.

[W] Ik denk dat het de beste manier is om het te zien.

[W] Er is een zekere mate van variabiliteit wanneer de tests worden uitgevoerd met iets hogere en iets lagere testresultaten.

[W] Dus we zijn altijd voorzichtig in het proces om te vragen. De bcva wordt bijvoorbeeld meerdere keren herhaald zodat we zeker weten dat we

[W] Neem een representatieve waarde.

[W] Dus dat zou ik tot nu toe zeggen. We zien stabilisatie met één injectie.

[W] Wat we niet weten, is wat er zal gebeuren met meerdere injecties.

[W] Dit is dus iets waar we erg enthousiast over zijn.

[W] hier spreken. Volgende vraag.

[W] Kijk.

[W] We hebben er nogal wat beantwoord.

[W] Tijdens een voor jou van Brendan Brendan. Hebben we een omkering van het gezichtsvermogen gezien, gezichtsverlies of het vermogen om in het donker te zien?

[W] Dus tijdens het spreken hebben we stabilisatie gezien, ik denk dat dit de beste manier is om het te zien.

[W] Er is een zekere mate van variabiliteit wanneer de tests worden uitgevoerd met iets hogere en iets lagere testresultaten.

[W] Dus we zijn altijd voorzichtig in het proces om te vragen. De bcva wordt bijvoorbeeld meerdere keren herhaald zodat we zeker weten dat we

[W] Neem een representatieve waarde.

[W] Dus dat zou ik tot nu toe zeggen. We zien stabilisatie met één injectie.

[W] Wat we niet weten, is wat er zal gebeuren met meerdere injecties.

[W] Dit is dus iets waar we erg enthousiast over zijn. Sandy die hier spreekt.

[W] Volgende vraag.

[W] Kijk.

[W] We hebben er nogal wat beantwoord.

[W] Ah, nu is dit een goede om deze behandeling uit te sluiten.

[W] in de toekomst nog een genetische behandeling krijgen en ik kan proberen die vraag aan te pakken omdat het een vraag is. We krijgen veel. We hebben nog geen andere proeven gezien met het Ushersyndroom.

[W] Wat is een zeer nuttig met RNA? Of het slijt.

[W] Dus technisch of hypothetisch moet ik zeggen dat het je niet zou moeten uitsluiten van toekomstig DNA-gebaseerd?

[W] Therapieën, waarvan ik denk dat het het soort onderliggende deel van de vraag is. Dat gezegd hebbende, ik heb het voorbehoud in LCA10 en Doreen sprak vrijwel enthousiast over onze vorderingen

[W] Mint sluit het krijgen van een nieuwe genetische behandeling in de toekomst uit en ik kan proberen die vraag aan te pakken omdat het een vraag is. We krijgen veel.

[W] We hebben nog geen andere proeven gezien met het Ushersyndroom.

[W] Wat is een zeer nuttig met RNA? Of het slijt.

[W] technisch of hypothetisch moet ik zeggen dat het je niet zou moeten uitsluiten van toekomstige op DNA gebaseerde therapieën, waarvan ik denk dat het het soort onderliggende is.

[W] Een leugenachtig deel van de vraag.

[W] Dat gezegd hebbende, ik heb het voorbehoud in LCA10 en Doreen sprak over onze vorderingen en we zijn enthousiast over de gegevens tegen het einde van deze maand.

[W] We hopen op LCA10.

[W] Er is een concurrent-gen of DNA-gebaseerd, en ze hebben individuen uitgesloten die een RNA-therapie hebben gehad in hun proef.

[W] Het is dus echt bedrijf tot bedrijf. Hypothetisch spoelt ons medicijn uit, of

[W] Verlaat uiteindelijk uw systeem, dus er zou geen reden moeten zijn waarom u in de toekomst geen op DNA gebaseerde behandeling kunt krijgen.

[W] Als er een komt langs als een beetje een moeilijke vraag, maar ik hoop dat ik het bevredigend heb beantwoord.

[W] Vraag over de prijs van het medicijn zodat ik dit ook kan nemen.

[W] Dit is dus een veel voorkomende vraag die we krijgen. Zoals je je op dit moment vast wel kunt voorstellen. De klinische ontwikkeling van ultevursen is gewoon te vroeg voor ons om te beginnen na te denken over de kosten van de behandeling.

[W] Dit zal echt te maken hebben met de gegevens en hoe belangrijk medicijnen zijn.

[W] Het kan zijn, maar we zijn helaas te vroeg in het proces om daar zelfs maar over na te denken.

[W] Rechts.

[W] Laten we eens kijken.

[W] We hebben veel van deze vragen beantwoord.

[W] Hé, Doreen, misschien een voor jou van Ricardo.

[W] Toevoegen. Dus dit is dit, we hebben u de gegevens hier niet getoond. Jij kan. Je kunt het in het algemeen op de website bekijken. We zagen, we zagen enige stabilisatie. Ze zijn tot, ongeveer zes maanden en dan

[W] En toen leek het tijd te zijn voor een nieuwe injectie, wat een deel van de redenen was. We wilden een injectie geven. Elke zes maanden om de de

[W] Dank u op onze knieën, Andy aan het woord.

[W] Nogmaals hier.

[W] De volgende vraag van Virginia is een hele goede.

[W] Hoeveel injecties kan de Iowa verdragen of is het voor het leven?

[W] Nutsvoorzieningen?

[W] Ik ga snel steken.

[W] Echt veiligheidsgegevens.

[W] We volgen dit heel, heel zorgvuldig en eigenlijk zullen Sirius en Celeste de eerste keer zijn dat we meerdere injecties in het oog hebben gedaan, maar we zullen echt de veiligheid hieromheen bestuderen en kijken wat ik ermee kan doen.

[W] Het injecteert. Doreen. Heb je daar iets aan toe te voegen?

[W] Juichend spreken alleen maar om te zeggen dat in andere omstandigheden, de frequentie van injectie.

[W] Dus het gebruik van dezelfde techniek voor verschillende ziekten kan zo vaak zijn als elke maand. Het is een zeer goed ingeburgerde techniek.

[W] We gebruiken een klein injectievolume met een zeer fijne naald, alleen door bekwame artsen die weten hoe ze de techniek moeten gebruiken.

[W] Zo is het, het is haalbaar.

[W] Ik denk om de administratie op lange termijn voort te zetten.

[W] Dank je, Dorien.

[W] Het is hier onder.

[W] We krijgen veel vragen over het waarom, exon 13 en wanneer er andere exons komen.

[W] Dat is een heel standaard vraag die we krijgen en ik zal daar een poging toe doen.

[W] Ik ben Makin University of over het retinolcentrum.

[W] Het heeft hier echt toe geleid en we hebben een prachtig webinar dat ik iedereen zou aanraden te gaan bekijken. Het staat op ons YouTube-kanaal, waar we echt ingaan op de geschiedenis van exon 13 en weet je, vanuit mijn begrip en de wetenschap

[W] Dat heeft Exon echt overgeslagen.

[W] We hebben gezien dat het echt effectief is, de praktijk en het overslaan zelf vanuit een wetenschappelijk perspectief is niet voor elke X op, omdat het uiteindelijk echt gaat om het creëren van een functionerende inluider van eiwitten en we hebben dat succes gezien in

[W] Team en aansluiten om 12 en 14.

[W] Dat is dus het verschil.

[W] Ik zou iedereen aanraden om naar onze YouTube-pagina te gaan en dat te bekijken.

[W] het is erg gedetailleerd. En we hebben een aantal van de, we hebben zojuist een geweldige kerel gewonnen, genaamd Irwin en fiets van Radley out University hier in Nederland, die eigenlijk deel uitmaakte van het oorspronkelijke team dat ontdekte dat de Exon oversloeg naar

[W] In dit geval, en hij gaat in op een prachtige beschrijving van de wetenschap. Dus controleer dat alsjeblieft.

[W] We hebben nog 10 minuten Doreen. Laten we daarom nog een paar vragen bekijken.

[W] Heather vraagt: is dit de laatste fase van klinisch onderzoek?

[W] Doreen hier, meestal zouden de cruciale onderzoeken die we hebben beschreven hun laatste fase moeten zijn om registratietoestemming te krijgen.

[W] We leren nog steeds veel over wat dit molecuul kan doen.

[W] En dus zouden we verwachten dat we veiligheid blijven vastleggen en kunnen er andere vragen zijn. Op één vraag willen we ingaan.

[W] We horen vaak is, kunnen we die patiënten jonger dan 12 jaar doen?

[W] En dit is iets wat we zijn.

[W] We gaan kijken of we dat kunnen doen.

[W] Dus dat kan binnenkort een vraag zijn, of het kan een vraag zijn waar we alleen toestemming voor kunnen krijgen om te testen en kinderen en jongere kinderen.

[W] Geweldig.

[W] Dank u. Doris, Anjou die hier spreekt.

[W] Emmanuel Ik heb gehoord dat er een fase drie studie in Europa komt en dat de studie een schijngroep zal hebben.

[W] Dus ik zal beginnen dat in de handleiding. Absoluut. We hopen zo snel mogelijk in 2022 onze Europese klinische proeflocaties Sirius en Celeste te openen, en Doreen zal een schijnvertoning zijn.

[W] Twee.

[W] Ja, controle hebben is erg belangrijk om overtuigende gegevens te krijgen. Wanneer u een ziekte heeft die sterk kan verschillen van patiënt tot patiënt.

[W] Het is een punt dat niet aan de onderhandelingstafel ligt met de regelgever.

[W] Ze willen er echt zeker van zijn om de patiënt te beschermen dat elk effect dat we zien een echt effect is en geen toevalseffect. En dit is waarom.

[W] Ze staan erop dat we controle hebben en in deze situatie is het een nep-controleweefsel.

[W] We hebben de nummers die aan de Sham-groep zijn toegewezen zo klein mogelijk kunnen houden.

[W] Om de geldigheid van het proces te behouden.

[W] En dat is Andy die hier spreekt.

[W] Ik denk dat dat echt de sleutel is. Zoals jullie allemaal.

[W] Kom maar mee, de klinische research Journey met ons is het feit dat, weet je, we wel bepaalde dingen moeten doen om de data schoon te krijgen en dat we zoveel mogelijk het effect laten zien en controlearmen spelen daarbij een rol als goed.

[W] In de meeste gevallen een wettelijke vereiste.

[W] Laten we eens kijken.

[W] Dit is een vraag van Sean, de positieve resultaten van de ProQR laten zien dat er een 8-letter verbetering is ten opzichte van de controle van 72 weken.

[W] Dit is bijna volledig te wijten aan de aktegeneratie van de onbehandelde. Ik in feite, er is ongeveer acht letter verslechtering, de onbehandelde, ik dit lijkt extreem snel. Zou je het tarief van DJ's die normaal voor ons zijn, beschouwen als een individu?

[W] In theorie zal er geen Envision Verbetering van het gezichtsvermogen zijn. En het beste scenario is stabilisatie in de behandelde. Ik ongeacht individuen verslechtering tarief.

[W] Tijdens, wil je mij?

[W] Zou je dat willen nemen?

[W] Ja.

[W] tijdens het spreken.

[W] Dank u. Dank u. Shawn voor de vraag, de mate van achteruitgang als onderdeel van de natuurlijke ziekte, Evolutie.

[W] Dat is iets dat we deelden die observatie dat het relatief snel lijkt in de loop van de proef, houd er rekening mee dat het een klein aantal patiënten is

[W] Ik in zijn cruciale studies.

[W] We gaan omhoog.

[W] Er zullen in totaal ongeveer 200 patiënten in het fase 2 3-programma zijn om te proberen een duidelijk beeld te krijgen tussen behandeld en niet-behandeld.

[W] Dus, voor het eerste deel, delen we wat je bent, we zijn afgestemd op je opmerking over het tweede deel.

[W] Kunnen we iets beters verwachten dan blijven?

[W] Abelisatie, zodra de fotoreceptoren zijn verslechterd. Ze regenereren niet.

[W] Daarom proberen we het maximale aantal fotoreceptoren te behouden en er zeker van te zijn dat we hun werking kunnen helpen.

[W] Dus er is ook een graad van de, ik leer,

[W] En dit kan leiden tot kleine verbeteringen, maar of het een echte duurzame verbetering is, is nog veel te vroeg om te zeggen.

[W] Dus ik denk dat stabilisatie ons onmiddellijke doelwit is en we zullen heel goed kijken of we iets beters kunnen doen dan dat.

[W] Dat is geweldig.

[W] Dank u. Is Andy aan het woord?

[W] Dat is geweldig.

[W] Dorisch.

[W] Dank u.

[W] Wat geweldig om zo'n betrokken community te zien.

[W] We proberen er doorheen te komen.

[W] Ik ben ook een beetje aan het vertalen voor onze collega's van de Latijns-Amerikaanse Gemeenschap aan de lijn.

[W] Het is het vermelden waard. We hopen wel Latijns-Amerikaanse sites te hebben.

[W] We werken momenteel samen met Brazilië.

[W] Het is echter vermeldenswaard dat we dat wel doen. Als u in aanmerking komt voor de studie. In het verleden hebben we mensen toegestaan om te reizen.

[W] Nou, en huisvesting betalen, dat wordt allemaal gedekt door de sponsor, dat zijn wij voor de proef om je naar het juiste centrum te krijgen.

[W] Het is ook op dit punt de moeite waard om op te merken dat ik echt niet verder kan zonder de Usher Coalition te bedanken voor al hun hulp hierbij.

[W] We zijn net een nieuw initiatief gestart met de Usher Coalition en dat ligt mij nauw aan het hart als de persoon die binnen ProQR verantwoordelijk is voor community outreach en nu

[W] Het Usher Usher-register gebruiken.

[W] echt voor jullie allemaal komen.

[W] Zoals we vandaag doen en echt gebruiken om te zien of we je in onze proeven kunnen krijgen.

[W] Het is niks waard.

[W] Proqr.

[W] We vonden het erg moeilijk om schrik te rekruteren. Lca10 proeven. Dit zijn zeldzame aandoeningen.

[W] Dit is geen hartziekte of iets dergelijks.

[W] Zo snel mogelijk en deze meebrengen.

[W] We hopen zo snel mogelijk medicijnen voor iedereen, toch?

[W] Ik zal stoppen met tieren en ik zal meer vragen stellen als we hier het laatste rechte stuk ingaan.

[W] Doreen.

[W] vraagt Jim, ik zie dat er een site in de VS is.

[W] In Texas.

[W] Zullen er andere sites in de buurt van de vs zijn, inclusief het DC-gebied? Ik denk dat ik die Jim wel aan kan. We hopen dat er meerdere sites in de VS open gaan, en zoals ik al eerder zei, heeft elke site een andere ethische procedure en

[W] Alle verschillende goedkeuringsprocessen, zodat we alle wetenschap en veiligheid hebben ondertekend. Aan die klinische kant.

[W] Wij doen.

[W] hoop er een flink aantal te hebben in Amerika. Houd dus onze webpagina in de gaten voor updates, of u kunt rechtstreeks contact met mij opnemen via patiëntinfo op ProQR.com. En ik ken veel van jullie. Ik herken hier wat namen. Vragen stellen, wie, wie heeft ons geschreven

[W] Bedankt voor het bereiken.

[W] Het is, we doen ons best om de sites zo snel mogelijk te openen. Maar bij sommige duurt het wat langer dan bij andere, wat normaal is voor klinisch onderzoek.

[W] Ik denk dat we er al veel hebben beantwoord.

[W] Ja, ik denk.

[W] Heel wat hiervan stellen medische vragen die ze helaas niet direct kunnen beantwoorden.

[W] Ik wou dat dat het geval was.

[W] Laat me controleren of dat alles was. Laat me de chatfunctie controleren om te zien wat we hier hebben.

[W] Draag met me mee.

[W] Iedereen.

[W] Er zijn veel vragen, dus excuses.

[W] Dit is een hele goede.

[W] Christina vraagt, zijn er plannen om ook QR-421a a in het oor te injecteren om te zien of het gehoorverlies kan beïnvloeden?

[W] Wil je dat ik die Doreen pak of spring? Springen. Nog een keer? Ik kan.

[W] Daar kan ik mee aan de slag.

[W] Dus op dit moment concentreren we ons echt op ultevursen in het oog.

[W] Iets wat Daniël echt heeft herhaald.

[W] Dus onze focus ligt echt op oculair of ik specifiek Ik krijg deze vraag veel omdat we een interne commissie hebben. En een van onze interne commissieleden vraagt ook echt naar het oor.

[W] Wat er in de toekomst gaat gebeuren, maar op dit moment concentreert ProQR zich alleen op het oog en daardoor. Dus we zullen het oor ook niet doen.

[W] Rechts.

[W] Bij bewustzijn. We hebben nog een minuut Krista. Zou je willen dat we niet bij al deze ongelukkigen komen.

[W] Ja, misschien veel rust. U wilt deelnemen aan een overname.

[W] Dit is Krista die spreekt.

[W] Ja, we hebben een overweldigende hoeveelheid vragen ontvangen.

[W] Dit is zo spannend.

[W] Precies wat we nodig hebben om dit enthousiasme te zien.

[W] Ik zal mijn best doen om alle vragen vast te leggen die we misschien niet hebben behandeld. Er waren veel, weet je, herhalingen en zo, maar ik zal mijn best doen.

[W] Om dat te documenteren en in staat te zijn om wat follow-up te doen met individuen.

[W] Ik weet dat veel ervan individuele ondersteuning is en individuele medische genetische testanalyse en zo.

[W] Dit is dus fantastisch geweest.

[W] Dit is zo geweldig geweest.

[W] Ik wil jou, Doreen, en Andy nogmaals bedanken voor je presentatie vandaag. En het delen van deze belangrijke informatie.

[W] Will, dit is een gesprek, weet je, tussen alle 200 plus van ons, toch?

[W] Neem contact op met de Ushersyndroom-coalitie en neem contact op met de aanschaf en de klinische proeflocaties, al die dingen, terwijl het zich ontwikkelt. Zal die informatie beschikbaar komen.

[W] Maar de Coalitie is hier om jullie allemaal te ondersteunen om erachter te komen of dit iets is dat voor jou werkt, geschikt is voor jou en wat de volgende stappen zouden kunnen zijn.

[W] wij zijn bron. Alsjeblieft. Aarzel niet om contact op te nemen en een opname van Dit webinar zal voorzien zijn van transcripties.

[W] Dat ook allemaal. Dus nogmaals bedankt iedereen om hier deel van uit te maken en we spreken elkaar snel.

[W] Heb een heerlijke rest van uw dag en avond. Dank u.