



Update zum QR-010-Entwicklungsprogramm

November 2017

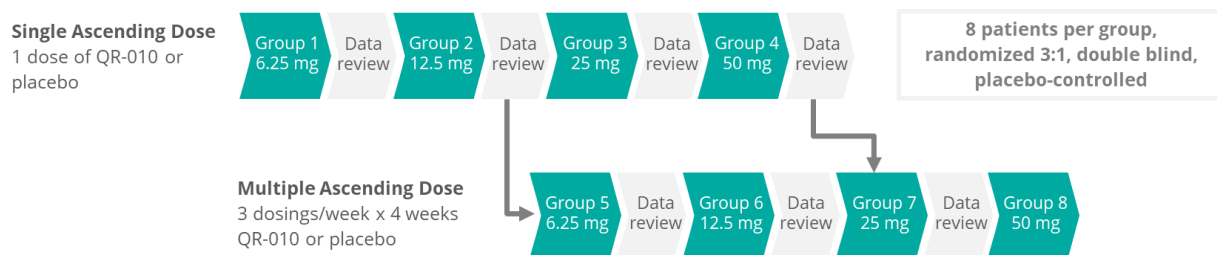
ProQR hat Ergebnisse einer klinischen Studie (Phase 1b) mit QR-010 an Mukoviszidose-Patienten, die homozygot sind bzw. über zwei Kopien der F508del-Mutation verfügen, bekannt gegeben. Wir veröffentlichen dieses Update zum QR-010-Programm, um die Mukoviszidose-Community auf diesem Weg mit aktuellen Informationen zu versorgen.

Zusammenfassung der Ziele und des Designs der Phase 1b-Studie mit QR-010 (PQ-010-001)

Diese internationale Phase 1b-Studie war in erster Linie dazu gedacht, die Sicherheit verschiedener Dosierungen von inhaliertem QR-010 bei Mukoviszidose-Patienten zu testen, die eine homozygote F508del-Mutation haben. Daneben wurden weitere Beobachtungen gemacht, die die ersten Belege für die Wirksamkeit von QR-010 darstellen könnten.

Als Teil der Studie wurde auch eine validierte Ergebnismessung per Mukoviszidose-Fragebogen (Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised Respiratory Symptom Score - CFQ-R RSS) durchgeführt, da es wichtig ist, den klinischen Nutzen von QR-010 aus der Perspektive des Patienten zu bewerten. Der CFQ-R RSS Fragebogen wird auch in anderen klinischen Studien zu Mukoviszidose ermittelt. Ergebnisse werden als wichtige Indizien für den Patientennutzen bei klinischen Studien eingestuft, sowohl von der medizinischen Community als auch von den Zulassungsbehörden.

Die Wirkungen der verschiedenen Dosierungen des inhalierten QR-010 wurden festgestellt, indem die klinische Studie in zwei Teile getrennt wurde (vgl. die Informationsgrafik). 4 Patientengruppen erhielten jeweils eine bestimmte QR-010-Dosis oder ein Placebo. Weitere 4 Gruppen erhielten eine bestimmte QR-010-Dosis oder ein Placebo, aber drei Mal wöchentlich über einen Zeitraum von 4 Wochen. Zur Gewährleistung der Sicherheit der Patienten wurden die Daten jeder Gruppe von Experten überprüft, bevor die QR-010-Dosierung für die nächste Gruppe erhöht wurde. Es handelte sich um eine sog. Doppelblind-Studie, was bedeutet, dass weder der Studienleiter noch der Patient wusste, ob diesem eine QR-010-Dosis oder ein Placebo verabreicht wurde.



Design der klinischen Studie PQ-010-001

Ergebnisse der Phase 1b-Studie mit QR-010 (PQ-010-001)

Die Studie wurde im September 2017 abgeschlossen und ProQR freut sich, mitteilen zu können, dass diese Studie ihre Ziele in vollem Umfang erreicht hat. Die Ergebnisse zeigen, dass QR-010 sicher war und bei allen Dosierungen gut vertragen wurde. Es gibt ermutigende Hinweise darauf, dass Mukoviszidose-Patienten von der Einnahme von QR-010 profitieren könnten. Die meisten Teilnehmer, die bei der Studie QR-010 verabreicht bekamen, meldeten eine Linderung ihrer Mukoviszidose-Symptome, gemessen in einer steigenden CFQ-R RSS-Punktzahl. Bei der Placebo-Gruppe war das nicht der Fall. Ein unterstützender Trend in verbesserter Lungenfunktion (gemessen als forciertes Einsekunden-Ausatemvolumen in % vom Sollwert, oder ppFEV1) wurde zudem gemessen, verglichen mit der Placebo-Gruppe. Es wurden keine Veränderungen im Schweißtest oder in der Gewichtszunahme beobachtet.

Die vollständigen Ergebnisse der QR-010 Phase 1b-Studie wurden auf der nordamerikanischen Mukoviszidose-Konferenz (North American CF Conference - NACFC) im November 2017 vorgestellt.

Das ProQR-Team bedankt sich auf diesem Weg bei allen, die uns geholfen haben, diesen wichtigen Meilenstein zu erreichen. Insbesondere möchten wir die wichtigen Beiträge anerkennen, die die teilnehmenden Mukoviszidose-Patienten geleistet haben, ebenso die Beiträge der Mukoviszidose-Experten, die uns beim Design und bei der Durchführung dieser klinischen Studie unterstützt haben. Diese Leistung war das Ergebnis weltweiter Aktivitäten der Community – 70 Teilnehmer in 23 Krankenhäusern in 10 Ländern in Nordamerika und Europa.

ProQR wird sich auch weiterhin um eine spürbare Verbesserung der Lebensbedingungen für Mukoviszidose-Patienten bemühen. Wir planen nun die nächsten klinischen Studien mit QR-010 und hoffen auf eine weiterhin erfolgreiche Zusammenarbeit und auf die Unterstützung der Mukoviszidose-Community. Sobald die nächsten Schritte des QR-010-Entwicklungsprogramms feststehen, werden wir die Community darüber informieren.

Bei Fragen wenden Sie sich bitte an Ihren behandelnden Arzt oder an ProQR unter patientinfo@proqr.com