



# Mise à jour, programme de développement du QR-010

Novembre 2017

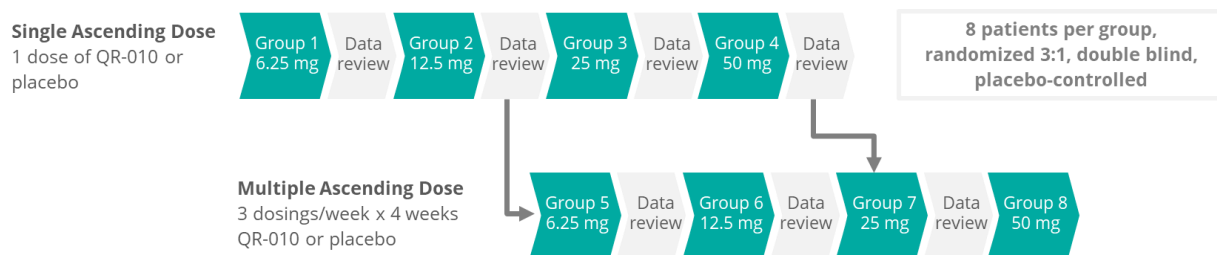
*Le 25 septembre 2017, ProQR a annoncé les résultats préliminaires d'un essai clinique de Phase 1b du QR-010 chez des patients atteints de MV homozygotes - ou porteurs de deux copies - pour la mutation F508del. Cette mise à jour concernant le programme QR-010 a été effectuée afin d'informer la communauté des personnes atteintes de mucoviscidose des derniers développements en la matière.*

## **Résumé des objectifs et du schéma de l'essai de Phase 1b du QR-010 (PQ-010-001)**

Cet essai international de phase 1b a été à l'origine développé pour étudier l'innocuité des différents dosages de QR-010 par voie nasale (inhalation) chez des personnes atteintes de MV et homozygotes pour la mutation F508del. D'autres mesures exploratoires également enregistrées pourraient démontrer les premiers signes de l'efficacité du QR-010.

Comme nous estimons important de prendre en compte l'expérience directe du patient pour évaluer les bienfaits cliniques du QR-010, les résultats signalés par les patients, ou Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised Respiratory Symptom Score (CFQ-R RSS), ont été inclus dans l'étude. Le questionnaire CFQ-R RSS est utilisé dans d'autres essais cliniques sur la mucoviscidose et les résultats sont considérés par la communauté médicale et les régulateurs comme étant des indicateurs de valeur en termes d'amélioration de la condition des patients lors des essais cliniques.

Les effets des différents dosages de QR-010 par voie nasale ont été examinés en divisant l'essai clinique en deux parties (veuillez-vous reporter au schéma). 4 groupes de patients ont respectivement reçu 1 dose attribuée de QR-010 ou de placebo. 4 autres groupes ont reçu une dose attribuée de QR-010 ou de placebo, 3 fois par semaine sur une durée de 4 semaines. Pour garantir la sécurité des patients, des experts ont passé en revue les données de chacun des groupes avant d'augmenter le dosage de QR-010 pour le groupe suivant. Il s'agissait d'un essai en double aveugle, ce qui signifie que ni le médecin responsable de l'étude ni les patients ne savaient qui recevait la dose attribuée de QR-010 ou un placebo.



*Schéma de l'essai clinique du PQ-010-001*

## Résultats préliminaires, essai clinique de Phase 1b concernant le QR-010 (PQ-010-001)

L'essai a été terminé en septembre 2017 et la société ProQR est heureuse d'annoncer que l'étude a atteint tous ses objectifs. Les résultats préliminaires démontrent l'innocuité et la bonne tolérance du QR-010 à tous les niveaux de dosage. Il y a des signes encourageants indiquant que la prise de QR-010 peut avoir un effet positif sur les patients atteints de mucoviscidose. La plupart des participants ayant reçu des doses de QR-010 dans le cadre de l'essai ont constaté une réduction des symptômes de la mucoviscidose, par ailleurs corroborée par une augmentation du CFQ-R RSS, laquelle n'a pas été relevée dans le groupe avec placebo. Une tendance à l'amélioration de la fonction pulmonaire (mesurée par l'estimation du pourcentage de volume expiratoire forcé) en comparaison avec le placebo. Aucune modification du taux de chlorure dans la sudation ou de poids n'a été observée. Les résultats de l'étude de phase 1b QR-010 seront présentés lors de la Conférence Nord-Américaine sur la mucoviscidose (North American CF Conference [NACFC]) de 2017.

L'équipe de ProQR tient à remercier tous ceux qui nous ont aidés à atteindre cette importante étape. Nous souhaitons en particulier faire part de notre profonde reconnaissance pour les contributions importantes des patients atteints de mucoviscidose ayant participé à cette étude, ainsi que des experts qui nous ont aidés à concevoir et mener cet essai clinique. Cet objectif a été atteint grâce aux efforts de la communauté internationale — 70 participants localisés dans 23 hôpitaux, dans 10 pays répartis entre l'Amérique du Nord et l'Europe.

ProQR reste fidèle à son engagement d'améliorer significativement la vie des personnes atteintes de mucoviscidose. Nous préparons déjà nos prochains essais cliniques sur le QR-010 et sommes impatients de bénéficier de nouveau de la collaboration et du soutien de la communauté des patients atteints de mucoviscidose. Nous vous informerons de nos progrès tout au long de notre programme de développement du QR-010.

---

Si vous avez des questions, veuillez consulter votre médecin traitant ou contacter ProQR à l'adresse suivante: [patientinfo@proqr.com](mailto:patientinfo@proqr.com)