



QR-010 Update Ontwikkelingsprogramma

November 2017

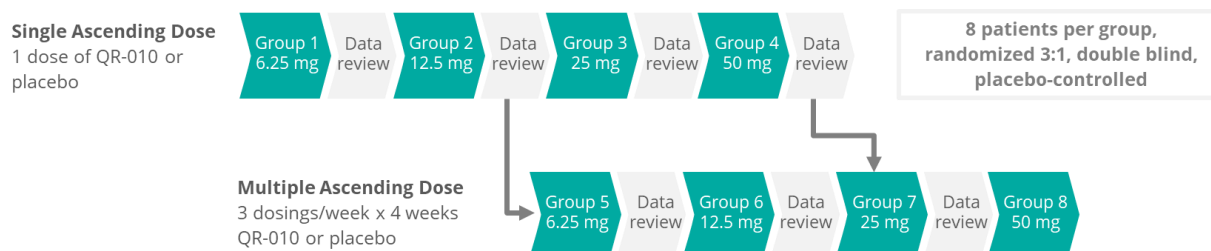
ProQR heeft de resultaten bekend gemaakt van een fase 1b-onderzoek naar QR-010 bij CF-patiënten die homozygoot zijn voor - of drager zijn van twee versies van - de F508del-mutatie. Deze QR-010-programma update is ontwikkeld om de CF-gemeenschap op de hoogte te houden.

Samenvatting van de doelstellingen en de opzet van het fase 1b-onderzoek naar QR-010 (PQ-010-001)

Dit internationale fase 1b-onderzoek was voornamelijk opgezet om de veiligheid te onderzoeken van verschillende doses QR-010 bij CF-patiënten die homozygoot zijn voor de F508del-mutatie. Andere verkennende metingen die een vroegtijdige indicatie zouden kunnen geven van de werkzaamheid QR-010 werden ook vastgelegd.

Als onderdeel van de studie werd de gevalideerde, door patiënten gerapporteerde resultaatmeting, de *Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised Respiratory Symptom Score* (CFQ-R RSS) bijgevoegd, aangezien deze belangrijk is om het klinische nut van QR-010 te kunnen beoordelen vanuit het perspectief van de patiënt. De CFQ-R RSS wordt gebruikt in andere klinische CF-onderzoeken en de resultaten ervan worden gezien als belangrijke indicatoren van het nut voor patiënten in klinische onderzoeken, zowel door de medische wereld als de regelgevers.

De effecten van verschillende doses geïnhaleerde QR-010 werden onderzocht door het klinisch onderzoek in tweeën te delen (raadpleeg hiervoor de infographic). Vier patiëntengroepen ontvingen elk één voorgeschreven dosis QR-010 of een placebo. Vier andere groepen ontvingen een voorgeschreven dosis QR-010 of een placebo, drie keer per week gedurende vier weken. Om de patiëntveiligheid te waarborgen werden de gegevens van elke groep door deskundigen getoetst voordat de dosis QR-010 voor de volgende groep werd verhoogd. Dit was een dubbelblind onderzoek, het geen betekent dat de onderzoekersarts noch de patiënt wist of men QR-010 of een placebo kreeg.



Ontwerp klinisch onderzoek PQ-010-001

Resultaten van het fase 1b-onderzoek naar QR-010 (PQ-010-001)

Het onderzoek werd in september 2017 afgerond en ProQR is verheugd te kunnen mededelen dat dit onderzoek aan alle doelstellingen heeft voldaan. De resultaten laten zien dat QR-010 veilig was en goed werd verdragen op alle dosisniveaus. Er zijn bemoedigende signalen dat mensen met CF voordeel zouden kunnen hebben van het gebruik van QR-010. De meeste deelnemers die in het onderzoek QR-010 gebruikten, meldden een afname van CF-symptomen, als gemeten door een toename in de CFQ-R RSS die niet te zien was in de placebogroep. Er is een positieve trend gemeten in verbetering van longfunctie in vergelijking met placebo, zoals gemeten middels spirometrie en uitgedrukt in % ppFEV-1. Er werden geen veranderingen gezien in de zweettest en op het gewicht.

De resultaten van het fase 1b onderzoek zijn gepresenteerd tijdens de North American CF Conference 2017 (NACFC).

Het team van ProQR bedankt iedereen die heeft geholpen deze belangrijke mijlpaal te bereiken. We zijn met name erkentelijk voor de belangrijke bijdrage van de mensen die leven met CF en die deelgenomen hebben aan het onderzoek en de CF-experts die ons geholpen hebben dit klinisch onderzoek op te zetten en uit te voeren. Deze prestatie is het resultaat van een gemeenschappelijke wereldwijde inspanning: 70 deelnemers in 23 ziekenhuizen in 10 landen in Noord-Amerika en Europa.

ProQR blijft zich inzetten om een belangrijke en positieve invloed uit te oefenen op de levens van diegenen die lijden aan CF. We zijn bezig plannen te maken voor volgende klinische onderzoeken naar QR-010 en zien uit naar verdere samenwerking met en steun van de CF-gemeenschap. We zullen de gemeenschap op de hoogte houden van de voortgang van het QR-010-programma.

Als je vragen hebt, kun je deze stellen aan je behandelend arts of kun je contact opnemen met ProQR via patientinfo@proqr.com