



# Aktuální informace o programu vývoje QR-010

Listopad 2017

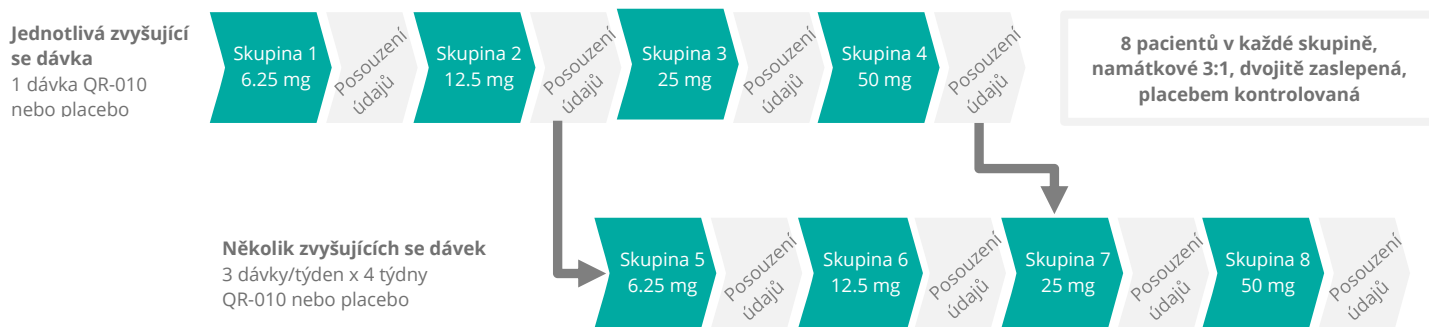
*Společnost ProQR oznámila výsledky fáze 1b klinického hodnocení QR-010 u pacientů s CF, kteří jsou homozygoti – neboli mají dvě kopie – mutace deltaF508. Tyto aktualizované informace o programu QR-010 byly vypracovány s cílem poskytnout komunitě pacientů s CF aktuální informace.*

## **Přehled cílů a návrh fáze 1b klinického hodnocení QR-010 (PQ-010-001)**

Primárním účelem této fáze 1b mezinárodního klinického hodnocení bylo prozkoumat bezpečnost různých dávek inhalovaného léku QR-010 u pacientů s CF, kteří jsou homozygoti mutace deltaF508. Kromě toho byla zaznamenávána různá výzkumná měření, která by mohla naznačovat první důkazy účinnosti léku QR-010.

Součástí studie byl validizovaný sebesposuzovací dotazník pacienta Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised Respiratory Symptom Score (CFQ-R RSS) (Dotazník pro cystickou fibrózu – revidované skóre respiračních symptomů), protože je to důležité pro posouzení klinického užitku QR-010 z pohledu pacientů. Dotazník CFQ-R RSS se používá u jiných klinických hodnocení CF a lékařská veřejnost i regulační orgány považují výsledky za významný indikátor užitku pro pacienty v klinických hodnoceních.

Účinky různých dávek inhalovaného léku QR-010 byly zkoumány tak, že klinické hodnocení bylo rozděleno do dvou částí (viz infografika). Čtyři skupiny pacientů vždy dostaly jednu stanovenou dávku QR-010 nebo placebo. Další čtyři skupiny dostaly stanovenou dávku QR-010 nebo placebo, a to třikrát za týden po dobu čtyř týdnů. S cílem zajistit bezpečnost pacientů posuzovali nejdříve údaje z každé skupiny odborníci, a teprve potom byla dávka QR-010 zvýšena pro další skupinu. Jednalo se o dvojité zaslepenou studii, což znamená, že ani lékaři ani pacienti podílející se na studii nevěděli, komu bylo podáno QR-010 a komu placebo.



Návrh klinického hodnocení PQ-010-001

## Výsledky fáze 1b klinického hodnocení QR-010 (PQ-010-001)

Klinické hodnocení bylo dokončeno v září 2017 a společnost ProQR s potěšením oznamuje, že splnilo všechny stanovené cíle. Z výsledků vyplývá, že lék QR-010 je bezpečný a je dobře snášen ve všech úrovních dávek. Jsou tu povzbudivé signály, že lidé s CF mohou mít z užívání QR-010 prospěch. Většina účastníků klinického hodnocení, kteří dostávali QR-010, uváděla snížení symptomů CF, jak bylo zjištěno nárůstem v dotazníku CFQ-R RSS, což u skupiny, která dostávala placebo, nebylo pozorováno. Podporný trend ve zlepšení funkce plic (měřené jako procento předpokládaného nuceného expiračního objemu během jedné sekundy, neboli ppFEV1) byl pozorován v porovnání s placebo skupinou. Nebyla pozorována žádná změna v množství chloridu v potu a v přibývání na váze.

Výsledky fáze 1b klinického hodnocení QR-010 byly prezentovány na 2017 North American CF Conference (NACFC).

Tým společnosti ProQR by rád poděkoval všem, kdo při dosažení tohoto významného milníku pomáhali. Chtěli bychom ocenit zejména významný příspěvek pacientů s CF, kteří se hodnocení zúčastnili, a odborníků na CF, kteří nám toto klinické hodnocení pomohli navrhnout a provádět. Tento úspěch byl výsledkem úsilí celosvětové komunity – 70 účastníků ve 23 nemocnicích v 10 zemích v Severní Americe a Evropě.

Společnost ProQR je i nadále odhodlána významně a pozitivně ovlivňovat život lidí, kteří trpí CF. Plánujeme další klinická hodnocení QR-010 a těšíme se na pokračující spolupráci a podporu ze strany komunity CF. Jak bude program vývoje QR-010 pokračovat, budeme komunitě dál poskytovat aktuální informace o dosaženém pokroku.

---

V případě jakýchkoli dotazů se prosím obraťte na svého ošetřujícího lékaře nebo můžete kontaktovat společnost ProQR na adrese [patientinfo@proqr.com](mailto:patientinfo@proqr.com)