

# ProQR veröffentlicht Top-Line-Ergebnisse der Phase 2/3 *Illuminate*-Studie von Sepofarsen bei CEP290-vermittelter LCA10

Februar 2022

ProQR hat die Top-Line-Resultate der Phase 2/3 *Illuminate*-Studie von Sepofarsen bei CEP290-vermittelter Leberscher congenitaler Amaurose Typ 10 (LCA10) veröffentlicht.

In den Top-Line-Analysen erreichte *Illuminate* weder den primären Endpunkt der bestkorrigierten Sehschärfe (*Best Corrected Visual Acuity*, BCVA), auch bekannt als „Eye Chart“, noch die sekundären Endpunkte. Im Vergleich mit dem scheinbehandelten Kontrollarm der Studie wurde im Sepofarsen-Behandlungsarm kein Vorteil beobachtet.

## ***Illuminate***

*Illuminate* ist die Bezeichnung einer klinischen Studie, in der untersucht werden sollte, ob die in der klinischen Prüfung befindliche RNA-Therapie Sepofarsen bei Patienten mit CEP290-vermittelter Leberscher kongenitaler Amaurose Typ 10 (LCA10) wirksam und sicher ist.

Die klinische Studie wurde im April 2019 begonnen.

"Angesichts der Ergebnisse, die in früheren Studien mit Sepofarsen beobachtet wurden, sind die Resultate der *Illuminate*-Studie unerwartet und enttäuschend - insbesondere für Menschen, die mit LCA10 leben", sagte Daniel A. de Boer, Gründer und CEO von ProQR Therapeutics. "ProQR wurde mit dem Ziel gegründet, RNA-Therapien

für Patienten mit hohem medizinischem Bedarf zu entwickeln, für die derzeit keine therapeutischen Optionen zur Verfügung stehen. Wir werden unsere robuste Pipeline von Therapien für genetische Augenkrankheiten weiter vorantreiben und sind allen Teilnehmern, ihren Unterstützern und den Prüffärzten, die an der *Illuminate*-Studie teilgenommen haben, sehr dankbar."

"LCA10 ist eine verheerende, sehr schwer zu behandelnde Netzhauterkrankung, die zur Erblindung führt und für die es keine Therapien gibt", sagte Dr. Bart Leroy, Leiter der Abteilung für Augenheilkunde am Universitätsklinikum Gent, Professor für Augenheilkunde und Augengenetik an der Universität Gent, sowie Oberarzt für Augengenetik und Netzhautdegenerationen am Children's Hospital of Philadelphia. "Wir werden weiterhin mit ProQR zusammenarbeiten, um die Daten zu verstehen, während ProQR weiter daran arbeitet, Therapien für vererbte Netzhauterkrankungen voranzutreiben."

"Dies war nicht das Ergebnis, das wir uns erhofft hatten, und wir teilen die Enttäuschung, die viele unter den Beteiligten empfinden", sagte Benjamin R. Yerxa, der Vostandsvorsitzende der Stiftung Fighting Blindness. "Wir werden weiterhin mit ProQR zusammenarbeiten, um mehr aus den laufenden Analysen zu lernen und um die RNA-Therapien voranzutreiben, die Kindern, Erwachsenen und Familien, die von seltenen genetischen Augenkrankheiten betroffen sind, helfen könnten."

## **Wie war die Studie aufgebaut?**

*Illuminate* war eine randomisierte, scheinkontrollierte Studie, in die 36 Teilnehmer im Alter von acht Jahren oder älter eingeschlossen waren. Bei allen Teilnehmern lag eine genetisch bestätigte kongenitale Lebersche Amaurose 10 (LCA10) vor, die auf die Mutation c.2991+1655A>G (p.Cys998X) im CEP290-Gen zurückzuführen ist.

Die Studie fand an 14 Studienzentren in neun Ländern statt.

Die Teilnehmer wurden nach dem Zufallsprinzip in drei gleiche Gruppen eingeteilt und erhielten:

- entweder die Ziel-Zulassungsdosis Sepofarsen (160 µg Ladedosis/80 µg Erhaltungsdosen),
- oder eine niedrige Dosis Sepofarsen zur Maskierung (80 µg Ladedosis/40 µg Erhaltungsdosen),
- oder eine Scheinbehandlung.

Sepofarsen wurde dabei als intravitreale Injektion (IVT) verabreicht, während das Scheinverfahren lediglich eine Injektion imitierte, ohne dass ein Medikament verabreicht oder eine Injektion vorgenommen wurde.

Klinische Studien werden von Forschern genutzt, um herauszufinden, ob neue Arzneimittel wirksam und sicher sind.

Ziel der *Illuminate*-Studie war es, herauszufinden, ob Sepofarsen die Sehkraft wirksam steigert sowie sicher und gut verträglich ist.

Wir werden uns als Unternehmen nun einige Zeit nehmen, um die Daten weiter zu analysieren.

## **ProQR dankt den Beteiligten**

Das ProQR-Team möchte sich bei den Studienteilnehmern, ihren Unterstützern sowie den Prüfärzten und ihren Mitarbeitern für die Unterstützung bei der Entwicklung dieser Studie bedanken. ProQR setzt sich weiterhin dafür ein, das Leben derjenigen erheblich zu verbessern, die von genetischen Augenkrankheiten betroffen sind.

## **Bleiben Sie in Kontakt**

Wenn Sie an regelmäßigen News-Updates oder an künftigen Möglichkeiten zur Teilnahme an klinischen Studien interessiert sind, registrieren Sie sich bitte für unseren vierteljährlich erscheinenden [ProQR Eye Connect Newsletter](#) oder folgen Sie uns in den sozialen Medien.

Bei Fragen kontaktieren Sie ProQR bitte direkt unter der E-Mail-Adresse [patientinfo@proqr.com](mailto:patientinfo@proqr.com).