

(Annamarie Dillon) Können mich alle hören? Ja, wunderbar. Zunächst einmal möchte ich den Organisatoren dafür danken, dass ich die Möglichkeit hatte, heute hier zu sein oder heute mein kleines Update vorzutragen.

Unser Programm hier ist wirklich etwas ganz Besonderes, es heißt QR-421a. Und ich möchte hier nochmal sagen, dass diese Präsentation einige Dinge enthalten wird, die noch in der Zukunft sind. Wie schon gesagt, wir sind in Leiden in den Niederlanden. Und unsere Strategie innerhalb des Unternehmens ist es wirklich, einen patientenfokussierten Ansatz zu haben. Und wir möchten uns natürlich auf seltene genetische Krankheiten konzentrieren, für die es derzeit keine Behandlung gibt. Es ist auch wichtig, dass wir die Gründe dieser Krankheit verstehen. Und wir hoffen, dass wir dann einfach Behandlungen entwickeln können, die dann hilfreich sein können. In diesem Fall wäre das also so.

Ich habe hier diese Folie inkludiert, sodass ich eine Übersicht geben kann, wie ein Medikament entwickelt wird. Es ist sehr viel los auf dieser Folie, das verstehe ich. Aber es gibt sehr viele verschiedene Schritte, die hier unternommen werden müssen. Das heißt also, wir müssen hier

ANNAMARIE DILLON

präklinische Tests durchführen, klinische Studien und so weiter. All die Studien, die durchgeführt werden müssen, sind gebraucht, damit wir wirklich verstehen, um was es geht. Wir müssen immer sicherstellen, dass alles sicher ist und wir möchten dann natürlich Dossiers an all die regulatorischen Körper geben, sodass Ärzte es dann am Ende verschreiben können. Das hier ist einfach nur eine Übersicht, eine Übersicht unserer Pipeline.

Wir haben also einige verschiedene Programme, die entwickelt werden, verschiedene Punkte. Das, das am weitesten ist, das haben wir gestern schon gehört für diejenigen von Ihnen, die da waren. Das ist hier aufgelistet und das heißt QR-110, das freut uns natürlich sehr. Aber wir glauben, dass unsere ersten klinischen Ergebnisse Ende dieses Jahres bereitgestellt werden. Und das Nächste ist dann für RP Exon Mutationen. Und wir haben hier auch noch weitere Sachen, an denen wir arbeiten, das kann man hier alles sehen. Jetzt nochmal eine kurze Vorstellung von QR-421a.

Ich weiß, das ist sehr, sehr schwierig auszusprechen. Aber wir versuchen hier wirklich eine RNA-Therapie zu entwickeln, daran arbeiten wir. Wir möchten hier diese Augensymptome behandeln von Retinitis pigmentosa. Das heißt also, hier geht es um Exon 13 des USH2A Gens. Es gibt hier verschiedene Ansätze, verschiedene Mutationen, die wichtig sind innerhalb des Exon 13. Und es gibt hier eine Datenbank, die ist hier auch genannt. Da sind alle gelistet. Ich glaube, wir haben keinen Ton mehr.

ANNAMARIE DILLON

Gut, also - auf der Basis von Erwin van Wijk und seinem Team können wir hier einfach weitermachen sozusagen. Und hier sehen wir eine Übersicht. Auf der linken Seite sehen wir einen gesunden Fotorezeptor. Hier können wir also sehen, dass die RNA umgewandelt wird in die Proteine. Das ist also wichtig für den Fotorezeptor. In der Mitte sehen wir dann eine Situation, wo es eine Mutation gibt im Exon 13. Und hier sind die RNA zusammengebrochen. Und weil das einfach nicht da ist, haben wir dann retinale Degeneration. Können Leute mich noch hören? Ich habe das Gefühl, mein Mikrofon ist nicht an. Ja? Okay, gut.

Und dann auf der rechten Seite, also das dritte Bild hier ist einfach nur eine Illustration, die zeigt, was unser Ansatz ist und unsere Behandlungsstrategie, das heißt also, wir möchten Exon 13 heraus nehmen aus der RNA. Das ist also der RNA, der hergestellt wird. Er ist einfach anders, aber funktional. Und so können wir die Fotorezeptoren einfach am Leben erhalten. Also all die Arbeit, die bereits hier hereingeflossen ist, heißt auch, dass dieses Programm in eine klinische Studie übergehen wird.

Und das erste Ziel dieser klinischen Studie, die dann "Stellar" genannt wird, wird wirklich die Wirksamkeit, Sicherheit und so weiter ansehen. Also hier kann man noch mal sehen, wir haben QR-421a bei Patienten. Das heißt also, ich kann hier noch mal sagen, was Mariya schon gesagt hat, stimmt natürlich. Also man muss wirklich wissen, was die Mutation ist, das ist sehr wichtig. Denn es gibt mehr klinische Studien. Nicht nur diese klinische Studie, auch zukünftige klinische Studien, werden wirklich sich

ANNAMARIE DILLON

darauf fokussieren, also auf diese verschiedenen Mutationen. Und wir haben hier die verschiedenen Sicherheitstests und so weiter. Und wir müssen immer sichergehen, dass es natürlich sicher ist.

Zudem werden wir auch sehen, ob es einen Einfluss auf verschiedene Dinge hat, die wir hier herausfinden können. Also zum Beispiel Wirksamkeit. Ich kann hier leider kein schönes Diagramm zeigen, da wir noch immer mit den verantwortlichen Behörden kommunizieren. Was ich aber aktuell dazu sagen kann, ist dass wir versuchen werden, das alles bald zu finalisieren. Wir werden natürlich ebenfalls versuchen, dass wir dieses Medikament QR-421a benutzen können bald. Und zwar als intravitreale Injektion. Für diese erste Studie werden wir nur erwachsene Patienten in Exon 13 benutzen.

Wir hoffen natürlich auch, dass wir dieses Programm vor dem Ende des Jahres noch weiterführen können. Wir versuchen natürlich ebenfalls, weitere Teilnehmer in diese Studie mit zu inkludieren. Und hoffen natürlich dann ebenfalls, darauf basierend, nächstes Jahr klinische Daten präsentieren zu können. Ja, das wird natürlich jetzt alles auch in Nordamerika und Europa durchgeführt werden. Was natürlich ebenfalls sehr schön ist, dass wir die Unterstützung der Stiftung "Fighting Blindness" haben. Das ist natürlich ein schönes Programm, an dem wir zusammenarbeiten auf dem Weg nach vorne und es ist natürlich ebenfalls schön zu sehen, dass wir mit Repräsentanten der Usher-Gemeinschaft zusammenarbeiten.

ANNAMARIE DILLON

Bevor wir tatsächlich überhaupt ein Behandlungsprotokoll aufgesetzt hatten, hatten wir einen Beirat, der aus der internationalen Usher-Community kam, aber natürlich auch aus verschiedenen Ländern in Nordamerika und Europa. Und das war extrem hilfreich, da wir am Anfang natürlich erstmal über das Design der Studie geredet haben. Und jedes Mal, wenn wir Fragen hatten, konnten wir uns einfach an Repräsentanten der Gemeinschaft wenden. Das war also sehr, sehr hilfreich. Und dafür vielen herzlichen Dank. Und ja, das war es. Das war jetzt ein kleiner Überblick. Ich hoffe, dass Sie auch teilweise unsere Website besuchen, damit Sie immer die neusten Informationen haben. Sobald natürlich die Sache weitergeht, werden Sie dort alles Weitere sehen. Und damit war es das. (Applaus)