

Catalan: Seminari web sobre assajos clínics de LUNA

Terça-feira, 20 de maio de 2025, 10h17 - 60 minutos

00:24:47 Benvinguts a tothom de nou.

00:24:49 Sóc Krista Vasi, directora executiva de la coalició de la síndrome d'Usher.

00:24:53 I abans de començar, volia prendre un moment per reflexionar sobre la importància del seminari web d'avui.

00:25:01 L'última vegada que vam organitzar una sessió com aquesta, el febrer del 2022, vam presentar el que llavors era un assaig de fase tres.

00:25:08 Avui estem aquí per parlar d'un assaig clínic de fase dos per a la síndrome d'Usher.

00:25:13 Tot i que aquesta etapa del judici és diferent, la importància no és menys significativa.

00:25:17 Cada pas endavant en la investigació clínica és una fita, i aquest comporta un impuls real.

00:25:25 La coalició de la síndrome d'Usher es va fundar fa més de 15 anys amb aquesta visió exacta en ment, per connectar el món de la recerca amb l'experiència viscuda de la nostra comunitat.

00:25:34 Des del principi, creiem que si poguéssim trobar i donar suport a totes les persones i famílies afectades per la síndrome d'Usher, podríem ajudar a fer realitat els tractaments.

00:25:43 I això segueix sent cert.

00:25:45 Els assajos clínics no es poden fer sense participants.

00:25:48 Els tractaments no es poden desenvolupar sense la visió i la participació de les persones que viuen amb la síndrome d'Usher.

00:25:54 En resum, la recerca et necessita.

00:25:57 És per això que estic especialment emocionat amb la presentació d'avui.

00:26:01 Aquest assaig representa un progrés significatiu, no només per a la població específica involucrada en l'estudi, sinó per a tota la comunitat de la síndrome d'Usher.

00:26:09 És un senyal que les coses estan avançant i, tot i que encara hi ha feina per davant, aquest moment mereix reconeixement.

00:26:16 Estic encantat de presentar el nostre ponent avui, la doctora Divya D'Souza és la.

00:26:21 I la doctora Divya D'Souza és la directora executiva de desenvolupament clínic de Sepul Bio.

00:26:28 També és oftalmòloga amb més de 13 anys d'experiència en el desenvolupament clínic de la retina i assumptes mèdics.

00:26:37 Amb nosaltres avui, també tenim Andrew Bolan, director de defensa del pacient de Sepul Bio.

00:26:42 Andy i Divya us ajudaran a respondre les vostres preguntes.

00:26:45 Al final de la presentació.

00:26:47 I estic molt content que tots dos estigueu aquí per compartir aquesta informació amb nosaltres avui.

00:26:53 La pregunta i la part de preguntes i respostes al final aquí es complementaran fent una pregunta a la funció de preguntes i respostes.

00:27:02 Podeu enviar preguntes allà.

00:27:04 Realment, en qualsevol moment de la presentació.

00:27:07 I després també parlarem de poder aixecar la mà per a preguntes al final.

00:27:12 Farem tot el possible per arribar a tantes preguntes com sigui possible.

00:27:16 Així que amb això, deixaré que la doctora Divya D'Souza s'ho prengui.

00:27:19 Aquí.

00:27:23 Gràcies Krista.

00:27:26 Bon vespre.

00:27:27 Bona tarda i bon dia a tots.

00:27:30 Quina fantàstica reunió global tenim.

00:27:33 En primer lloc, m'agradaria donar les gràcies a la coalició de la síndrome d'Usher per convidar-me a parlar avui.

00:27:40 I moltes gràcies a tots vosaltres per ser aquí.

00:27:45 Com va esmentar Krista, sóc la doctora Divya D'Souza i sóc la líder mèdica de l'estudi LUNA del qual parlarem.

00:27:54 Treballo a Sepul Bio, que és una empresa que patrocina l'assaig clínic del qual parlem avui.

00:28:03 Perquè ho sàpigues, qui està parlant, sóc una dona morena de mitjana edat, i si el meu accent encara no l'ha delat, sóc d'origen indi.

00:28:16 Una mica sobre mi.

00:28:18 Sóc oftalmòleg i he tingut la sort de treballar en alguns dels productes que ara estan disponibles per a pacients amb malalties oculars comunes, com la degeneració macular associada a l'edat i la malaltia ocular diabètica.

00:28:35 Però trobar solucions per a afeccions oculars que es produeixen en famílies com la síndrome d'Usher és increïblement important per a mi.

00:28:45 Com que encara es necessiten tractaments efectius per a moltes d'aquestes condicions.

00:28:52 A més, garantir la seguretat del pacient mentre ho fem és sempre, sempre la meva màxima prioritat.

00:29:01 És un privilegi tenir l'oportunitat de parlar amb vosaltres avui.

00:29:09 Llavors, per què som aquí avui?

00:29:13 Vull esbossar el que esperem aconseguir junts durant el nostre temps avui.

00:29:19 Com va esmentar Krista, tenim un estudi clínic que està començant i l'objectiu principal és bastant senzill.

00:29:27 És per compartir informació sobre l'estudi lunar.

00:29:31 És un assaig clínic en curs que és directament rellevant per a aquesta comunitat.

00:29:38 Us donaré una visió general de quina és la ciència que hi ha darrere de l'estudi.

00:29:43 De què tracta el judici?

00:29:45 Per què s'està duent a terme?

00:29:48 Qui pot participar i per què?

00:29:52 Què implicaria la participació en l'assaig?

00:29:55 I, per descomptat, com pots participar-hi?

00:29:59 Si t'interessa?

00:30:01 Prometo ser el més clar i detallat possible.

00:30:06 La teva comprensió és clau.

00:30:09 Si us plau, anoteu les vostres preguntes i tindrem temps dedicat al final, així que no dubteu a llançar-nos qualsevol cosa.

00:30:18 Metafòricament, si us plau.

00:30:22 I un recordatori ràpid però important.

00:30:26 Aquesta sessió és purament informativa.

00:30:30 Estic aquí per parlar-vos de l'assaig, però quan es tracta de prendre decisions sobre la vostra salut o si aquest assaig és adequat per a vosaltres, heu de parlar amb el vostre propi metge.

00:30:45 Coneixen millor la teva situació personal.

00:30:51 Ara, abans d'aprofundir en els detalls de l'assaig, permeteu-me donar-vos un breu antecedent sobre l'empresa que el patrocina, que és Sepul Bio.

00:31:02 Alguns de vosaltres potser recordeu estudis anteriors d'una altra empresa anomenada procure.

00:31:10 Així que la nostra empresa, Sepul Bio es va fundar a partir d'actius i persones de l'adquisició.

00:31:18 Després d'un revés en un dels seus altres programes que es troba a l'estudi LCA ten el febrer de 2022, per raons comercials, malauradament va haver de tancar tots els assajos en curs, inclosos els estudis del programa Usher, a finals d'aquest any.

00:31:38 Tanmateix, l'equip dedicat va passar el 2023 buscant una nova llar per a aquests tractaments, inclòs per a Ultevursen per a la síndrome d'Usher, les bones notícies van arribar el desembre de 2023 quan es van associar amb els laboratoris Thea.

00:31:59 Això va portar a la creació de Sepul Bio, una nova unitat dins d'un nivell privat de propietat familiar que proporciona un entorn més estable per a tractaments avançats com Ultevursen.

00:32:18 Llavors, en quins programes està treballant Sepul Bio?

00:32:23 Sepul Bio actualment se centra en dos programes que es troben en el que anomenem fase tardana.

00:32:30 Què significa l'etapa tardana en el món de la paraula desenvolupament de la medicina?

00:32:36 Imagineu-vos que desenvolupar un medicament és com fer un llarg viatge.

00:32:42 L'etapa inicial és explorar el medicament al laboratori i realitzar alguns petits estudis en humans per veure si és segur i sembla prometedor.

00:32:55 El desenvolupament en fase tardana és quan estàs en els assajos més grans, provant el tractament en grups més grans de persones i apropant-te a la línia de meta que està preparant-lo per ser revisat per les autoritats sanitàries com la FDA per a la seva aprovació.

00:33:16 Els dos programes de Sepul Bio es troben en una emocionant etapa tardana, cosa que essencialment duplica les nostres possibilitats de presentar noves opcions per a aquestes afeccions oculars hereditàries.

00:33:32 Avui ens centrem en Ultevursen al programa Usher.

00:33:37 L'estudi del qual parlaré és LUNA, que és un estudi de fase dos B.

00:33:44 Penseu en la fase dos B com un pas significatiu on estudiem el medicament en un grup més gran per veure com d'eficaç podria ser.

00:33:55 Per obtenir més informació sobre la seva seguretat i esbrinar les millors maneres de mesurar el seu èxit per a un assaig final de fase tres.

00:34:08 L'estudi LUNA ha començat.

00:34:11 Hem examinat i dosificat pacients, i el nostre objectiu és inscriure tots els participants a finals d'aquest any, com més ràpid reclutem, més aviat tindrem les dades.

00:34:27 Per tant, si creieu que podeu ser elegible, potser digueu-ho a la vostra família i amics que també poden ser elegibles.

00:34:35 Només ho dic.

00:34:39 Realment vull prendre un moment aquí per agrair a la Coalició Usher la seva fantàstica col·laboració, especialment amb el Registre Fiduciari Ush.

00:34:51 El registre és realment el motor que ajuda a connectar les persones amb síndrome d'Usher amb oportunitats de recerca clínica com aquesta.

00:35:04 D'acord, gràcies per ser tan pacients mentre cobrim les coses de fons.

00:35:12 Ara canviem de marxa i centrem-nos en la investigació específica d'Usher.

00:35:19 És hora de submergir-se en LUNA.

00:35:21 L'estudi clínic.

00:35:27 Aquest estudi tracta d'explorar com el fàrmac d'estudi Ulteversen podria afectar les persones que tenen retinosi pigmentària.

00:35:39 A causa de canvis específics, o el que els científics anomenen mutacions en una part concreta del gen.

00:35:49 INN.

00:35:50 Exó 13 del gen.

00:35:55 Així que anem a desglossar-ho una mica.

00:35:58 Quina condició estem estudiant en aquest estudi?

00:36:01 En aquest assaig clínic?

00:36:04 En primer lloc, el panorama general, aquest estudi és per a persones amb retinosi pigmentària que tenen una alteració específica en el seu gen Usher.

00:36:18 Dreta.

00:36:19 A la secció Exó 13.

00:36:23 Ara entrem en els detalls.

00:36:27 Retinosi pigmentària.

00:36:29 Com molts de vosaltres sabeu, és una afecció ocular on les cèl·lules de la part posterior de l'ull, la part posterior de l'ull que us ajuden a veure la llum.

00:36:38 També anomenen fotoreceptors.

00:36:41 A poc a poc deixen de funcionar.

00:36:45 Això condueix a una pèrdua gradual de la visió, sovint començant amb dificultat per veure de nit i després dificultat per a la visió visual, i després en les etapes posteriors, dificultat per a la visió central.

00:37:04 De vegades, aquest canvi genètic específic forma part de la síndrome d'Usher tipus 2A, on afecta tant l'audició com la visió.

00:37:16 Altres vegades pot causar retinosi pigmentària per si sola, sense pèrdua auditiva.

00:37:26 I aquí hi ha un punt molt important.

00:37:29 Tot i que la retinosi pigmentària pot ser causada per moltes alteracions diferents en el gen, aquest assaig és només per a pacients que tenen alteracions en la regió de l'exó 13 del gen.

00:37:52 Us preguntareu per què només aquest?

00:37:55 Aquesta és una gran pregunta.

00:37:58 Això es deu al fet que el fàrmac de l'estudi, Ultivursen, està dissenyat per treballar només en aquestes alteracions específiques.

00:38:09 Si té un canvi diferent en el seu gen.

00:38:12 Malauradament, aquest medicament en particular no seria eficaç per a vosaltres.

00:38:21 A més, aquest assaig se centra en com aquests canvis específics en l'exó 13 d'Usher afecten l'ull.

00:38:37 Llavors, quins són els canvis que afecten l'ull i què estem estudiant en aquest assaig?

00:38:49 Si algú té una mutació a l'exó 13, desordena la producció d'una proteïna important als ulls anomenada Ashran.

00:39:00 Es creu que això condueix als fotoreceptors.

00:39:03 Recordeu, aquestes són les cèl·lules sensibles a la llum de la retina.

00:39:08 Per tant, es creu que això condueix a la mort dels fotoreceptors.

00:39:13 Basant-nos en el que hem après dels estudis que han seguit persones amb aquesta condició al llarg del temps, veiem canvis a l'ull.

00:39:22 Succeeix relativament aviat a la vida perquè aquests fotoreceptors comencen a degenerar.

00:39:30 Això primer afecta l'estructura de la retina, seguit de la ceguesa nocturna i després la pèrdua de visió, la visió central o el bé que es pot veure cap endavant tendeix a romandre estable fins molt més tard.

00:39:50 Per tant, algú podria tenir una visió central força bona, però encara tenir canvis subjacents significatius a l'ull.

00:40:00 Això ens dona un marc de temps únic per mostrar com una intervenció podria ajudar a alentir o aturar, o fins i tot revertir la disminució.

00:40:12 Si coneixem el camí típic que pren la malaltia, podem veure millor si i quan un tractament està marcant la diferència.

00:40:22 I això és el que pretenem investigar amb l'estudi clínic.

00:40:27 LUNA volem reduir la velocitat a la qual aquests fotoreceptors estan degenerant per ajudar a prevenir els problemes de visió que es produeixen.

00:40:44 Per tant, basant-se en com la retinosi pigmentària afecta la visió, i perquè l'assaig se centra en intentar frenar la taxa de la malaltia durant dos anys, i també perquè la visió central es manté durant més temps, si algú participa en l'assaig, no hauríeu d'esperar començar a veure de sobte com un falcó o notar grans millores en la visió general.

00:41:11 Durant el període de prova.

00:41:14 L'estudi està dissenyat per veure si el tractament pot alentir i aturar el declivi més subtil però subjacent de l'estructura de la retina i la visió perifèrica.

00:41:27 La visió nocturna que es produeix abans, amb l'objectiu de preservar la visió a llarg termini i reduir el risc de pèrdua de visió severa en el futur.

00:41:44 D'acord, ara anem a la medicació de l'estudi.

00:41:49 I com funciona?

00:41:53 Per tant, Ulteversen és el medicament d'estudi que s'investigarà en aquest assaig.

00:42:01 Ulteversen és el que s'anomena una teràpia dirigida a l'ARN.

00:42:06 Sense aprofundir massa en les males herbes de la biologia molecular, penseu-hi com una molècula especial dissenyada per ajudar a superar aquesta fallada genètica específica en l'alteració de l'exó 13 del gen Ace2 i per ajudar a restaurar la producció d'aquesta proteïna important.

00:42:30 L'esperança és que mitjançant la restauració d'aquesta proteïna, puguem aturar i frenar la degeneració dels fotoreceptors, i així prevenir els problemes de visió que poden passar.

00:42:48 Com s'administra Ulteversen?

00:42:51 S'administra mitjançant una injecció a la part posterior de l'ull.

00:42:57 Ara sé que la injecció a l'ull pot semblar una mica intensa, però en realitat és una manera molt comuna d'administrar medicaments per a altres afeccions oculars, com les de l'envelliment o la diabetis.

00:43:11 S'administra mitjançant una injecció intravítrea.

00:43:15 Aquest mètode està ben establert i és una cosa amb la qual la majoria dels oftalmòlegs estan molt familiaritzats.

00:43:22 Normalment es fa allà mateix a la clínica amb totes les precaucions estèrils necessàries i adormint l'ull.

00:43:31 Per descomptat, una cosa interessant d'injectar directament al vitri de l'ull és que permet que el medicament arribi a tota la retina.

00:43:44 El fàrmac de l'estudi Ulteversen també està dissenyat per tenir un efecte relativament durador, de manera que les injeccions només es necessiten cada sis mesos.

00:43:56 I a diferència de la teràpia gènica tradicional, que es basa en l'ADN i fa canvis permanents a la retina, els efectes de l'Ulteversen són reversibles perquè és una teràpia d'ARN, per la qual cosa s'administra cada sis mesos.

00:44:16 Així que ara passem a quin és el propòsit d'aquest judici?

00:44:25 L'objectiu principal de l'estudi és determinar si Ulteversen és segur i eficaç per al tractament de la retinosi pigmentària en pacients amb aquesta mutació específica a l'exó 13 del gen.

00:44:44 Recollirem molta informació per veure si Ulteversen ajuda a frenar o aturar la progressió de la malaltia i assegurar-nos que és segur d'utilitzar.

00:44:58 Ara, parlem de com està configurat l'estudi.

00:45:03 En primer lloc, he de fer una pausa per donar un crit massiu als ambaixadors de la Coalició Usher.

00:45:13 El vostre suport i comentaris van ser absolutament crucials per ajudar-nos a dissenyar aquest assaig i fer que els formularis de consentiment informat fossin més fàcils d'entendre.

00:45:25 Hem escoltat els vostres comentaris.

00:45:27 Per exemple, hem reduït algunes de les proves per ajudar amb la fatiga durant les visites i fins i tot hem afegit una visita opcional de pagament de 2 o 3 dies per a aquells que necessiten temps extra.

00:45:43 Realment ens vam prendre en serio la vostra aportació per fer més clar el procés de consentiment i estem increïblement agraïts per la col·laboració amb Krista i Nancy i tot l'equip de la Coalició Usher per portar la veu de la comunitat directament a la nostra planificació.

00:46:05 A més, el disseny de l'estudi es va basar en gran mesura en un estudi d'història natural realment important anomenat rush to a.

00:46:16 Aquest estudi ha seguit pacients amb aquesta malaltia al llarg del temps, donant-nos informació inestimable.

00:46:24 Així que per a qualsevol de vosaltres del públic que va participar a Rush per agrair. Tu.

00:46:30 La vostra participació ens va ajudar directament a entendre millor la malaltia i a dissenyar aquest assaig.

00:46:40 Ara passem a qui pot participar en aquest assaig.

00:46:48 Aquestes són les coses principals que busquem per veure si algú és adequat per a aquest judici.

00:46:55 En primer lloc, com que el fàrmac d'estudi Uteversen es dirigeix a aquesta alteració específica en el gen INN Exó 13, cal tenir una mutació en l'Exó 13 del gen per participar-hi.

00:47:12 Això es pot confirmar amb un informe genètic anterior o fent una anàlisi de sang o saliva.

00:47:22 Pel que fa a l'edat, incloem pacients de vuit anys o més, per la qual cosa aquest és l'únic assaig pediàtric i adult relacionat amb Usher al món.

00:47:37 A més d'això, hi ha algunes altres coses que hem de tenir en compte per assegurar-nos que realment podem saber si un tractament està funcionant.

00:47:48 Els assaigs clínics tenen criteris específics d'inclusió o exclusió.

00:47:55 Penseu en aquestes pautes que ens ajuden a trobar pacients on és més probable que vegem canvis en la seva condició.

00:48:04 Durant l'estudi.

00:48:07 És important perquè si la condició d'algú és molt, molt estable, pot ser molt difícil saber si el tractament està marcant la diferència.

00:48:20 Un exemple d'aquest tipus de criteri en aquest assaig té a veure amb la capa específica de la part posterior de l'ull.

00:48:29 Això és important per a la visió.

00:48:32 De vegades s'anomena capa e o e z.

00:48:38 Utilitzem una prova d'imatge especial, com una ecografia detallada de l'ull anomenada OCT per mesurar l'amplada d'aquesta capa.

00:48:51 Per a aquest assaig, busquem pacients que tinguin una amplada clarament visible i mesurable d'aquesta capa.

00:49:01 Això és almenys 2,2 mm en ambdós ulls.

00:49:07 Això ens ajudarà a centrar-nos en les persones on és més probable que vegem si el tractament està tenint un impacte positiu en aquesta capa al llarg del temps.

00:49:20 Per tant, per a aquells de vosaltres que podríeu haver estat considerant els assajos anteriors d'Uteversen quan formava part de l'adquisició, aquest criteri és una gran diferència.

00:49:32 Aquests criteris, incloent-hi quines mesures tenen més probabilitats de canviar amb el temps, es van basar en aquesta important pressa cap a un estudi d'història natural que he esmentat abans.

00:49:48 I entenem totalment que tenir criteris específics com aquest pot ser difícil i frustrant, ja que significa que algunes persones que realment volen participar en aquest estudi poden no qualificar-se.

00:50:09 El nostre objectiu és reclutar 81 individus amb retinosi pigmentària a causa de mutacions d'Usher a Exó 13, i que compleixin els criteris d'inclusió i no compleixin cap dels criteris d'exclusió el més ràpidament possible.

00:50:33 Ara, parlem del disseny de l'estudi i què passa si esteu a l'assaig.

00:50:43 Així que primer parlem del tipus d'assaig o estudi clínic.

00:50:49 Així que aquest és un assaig controlat aleatori.

00:50:55 Aquests són l'estàndard d'or per provar nous tractaments mèdics.

00:51:01 En aquests estudis.

00:51:02 Els participants s'assignen aleatòriament a diferents grups.

00:51:08 Normalment un grup rep el nou tractament i l'altre grup rep alguna cosa que s'anomena control.

00:51:18 Per tant, si compleixes els requisits per a l'estudi, se t'assignarà aleatòriament en un dels grups següents.

00:51:27 És com llançar una moneda, però amb probabilitats lleugerament diferents.

00:51:31 Se us assignarà per rebre el medicament de l'estudi Ulteversen o un procediment simulat.

00:51:40 Aviat entraré en el que és una farsa.

00:51:44 No podreu triar en quin grup us trobeu i és aleatori.

00:51:50 Per mantenir les coses justes i imparcials.

00:51:54 Si s'assigna al grup de fàrmacs de l'estudi, el grup d'Ulteversen, són dues possibilitats de cada tres, o al voltant del 67%.

00:52:04 Rebràs Ulteversen injectat a l'ull mitjançant aquest mètode d'injecció intravítrea del qual hem parlat abans.

00:52:15 Si estàs assignat al grup fals, el grup de procediment simulat, això és una de cada tres possibilitats, o aproximadament el 33%.

00:52:24 Passareu exactament per la mateixa preparació que si rebeu la injecció.

00:52:31 Passaràs per tots els tràmits.

00:52:33 Tot serà igual que si estiguessis rebent la injecció, incloses les gotes anestèsiques, però no s'injectarà res a l'ull.

00:52:44 Només la punta de la xeringa sense agulla us tocarà l'ull.

00:52:52 El grup fals actua com a control en l'estudi i s'assegura que els resultats de l'estudi siguin el més precisos i imparcials possible, i no estigui influenciat per si algú creu que ha rebut el tractament.

00:53:15 Llavors, què es compara en l'estudi?

00:53:19 Els efectes d'Ulteversen són el fàrmac de l'estudi es compararan amb els efectes observats en el grup simulat, i l'estudi recopilarà informació per veure si Ulteversen funciona per frenar o aturar la progressió de la malaltia, i per veure si és segur.

00:53:45 Parlem ara de les visites d'estudi.

00:53:49 Per tant, si compleixes els requisits per a l'estudi, visitaràs el lloc de l'estudi almenys deu vegades en 27 mesos.

00:54:00 Les visites es programen cada tres mesos.

00:54:05 S'espera que la majoria de les visites triguin 1 o 2 dies.

00:54:10 Però la teva filla, el teu metge podria planejar que siguin tres dies si cal.

00:54:17 És possible que hàgiu de passar la nit en un hotel a prop del lloc d'estudi i us convidem a portar algú amb vosaltres.

00:54:25 I sí, tot això es pagarà.

00:54:31 Què passarà a cada visita?

00:54:34 En cadascuna d'aquestes visites, tindràs una sèrie de proves i procediments.

00:54:41 Tindreu proves de visió com llegir les lletres més petites que pugueu en un gràfic.

00:54:48 Aquests mesuraran la vostra visió central, així com la visió amb poca llum.

00:54:54 Exàmens oculars com comprovar la pressió a l'ull i mirar cap a la part frontal i posterior de l'ull.

00:55:03 Obtindràs gotes per als ulls que fan que les teves pupil·les siguin grans.

00:55:07 Això s'anomena dilatació, de manera que podeu fer certes proves i el metge pot veure millor l'interior.

00:55:14 Es faran fotografies i imatges de la part posterior de l'ull per veure estructures de la retina com la capa EZ de la qual parlava abans.

00:55:28 També faràs proves de camp visual amb equips especials amb flaixos de llum.

00:55:34 Això es fa per veure la teva visió lateral.

00:55:37 Inclouen camp blanc, perimetria i microperimetria.

00:55:41 Testatge.

00:55:43 Omplireu alguns qüestionaris.

00:55:45 És la teva oportunitat d'explicar-nos com estàs, i fins i tot potser pots completar un laberint de realitat virtual.

00:55:53 Si el vostre lloc d'estudi hi participa.

00:55:56 Sona divertit, oi?

00:55:59 I cada sis mesos tindràs la injecció o el procediment simulat.

00:56:08 Tan.

00:56:10 Quin és l'estat actual del judici i on es durà a terme?

00:56:15 El judici està en curs.

00:56:18 Tenim alguns pacients ja examinats i dosificats.

00:56:23 Actualment està previst que tingui lloc a deu països d'Amèrica del Nord i del Sud, així com a Europa.

00:56:32 Així que per a Amèrica del Nord i del Sud, Estats Units, Canadà i Brasil, i després a Europa, Regne Unit, Alemanya, Itàlia, Països Baixos, França, Bèlgica i Dinamarca.

00:56:46 Si penses en unir-te.

00:56:48 Quines són les coses a tenir en compte?

00:56:52 Llavors, quins són els beneficis potencials de participar?

00:56:58 Per què unir-se a l'estudi?

00:57:02 Un, és possible que tingueu accés a un tractament potencial abans que estigui disponible a tot arreu.

00:57:10 Ajudaràs a avançar en el coneixement mèdic que podria ajudar a moltes altres persones en el futur.

00:57:18 Rebràs un seguiment estret per part d'un equip mèdic dedicat durant tot l'estudi.

00:57:27 I és important recordar que aquests són beneficis potencials.

00:57:31 No hi ha cap garantia que us beneficieu personalment de participar.

00:57:39 Quins són els riscos i molèsties potencials si participeu?

00:57:45 Per tant, com qualsevol medicament, el fàrmac de l'estudi podria tenir efectes secundaris, ja siguin temporals o permanents.

00:57:54 I sempre hi ha la possibilitat de reaccions inesperades.

00:58:01 També tindreu algunes molèsties a causa de les extraccions de sang que tindran lloc durant l'estudi.

00:58:07 I també fer algunes d'aquestes proves, que poden ser molt cansades.

00:58:13 També és un compromís de temps que haureu d'assistir a aquestes visites durant 2 o 3 dies, i hi haurà viatges implicats.

00:58:23 I després sempre hi ha la possibilitat que el nou tractament no funcioni com s'esperava.

00:58:33 Passem als costos i al reemborsament.

00:58:36 Així que bones notícies aquí.

00:58:39 Tots els serveis, procediments i cures directament relacionats amb el que requereix el protocol de l'estudi seran a càrrec del promotor.

00:58:50 També com a participant i, si cal, algú que t'acompanyi.

00:58:55 És possible que tingueu dret al reemborsament del viatge i ajuda amb els arranjaments del viatge.

00:59:01 Aquests es reservaran sense cap cost per a vostè.

00:59:05 També se us reemborsaran altres costos durant el viatge, com ara menjar, begudes i allotjament durant la nit.

00:59:14 No volem que participar sigui una càrrega financera per a tu.

00:59:22 Llavors, com obtenir més informació i amb qui contactar?

00:59:28 Per obtenir més detalls?

00:59:30 Així que us donaré un correu electrònic per contactar directament amb l'empresa.

00:59:35 L'adreça de correu electrònic és contacte a Sepul Bio.

00:59:41 Andrew Bolan.

00:59:42 El nostre cap de defensa del pacient respondrà amb una resposta personalitzada, responnent el millor que pugui.

00:59:49 Les teves preguntes.

00:59:51 No és un professional mèdic ni un assessor genètic.

00:59:54 No obstant això, s'esforçarà per indicar-vos la direcció correcta.

01:00:01 A més, si esteu interessats, us aconsellem que parleu amb els vostres propis metges sobre si aquest assaig o qualsevol assaig clínic pot ser adequat per a vosaltres.

01:00:13 Ara, si també voleu investigar una mica més i obtenir més informació sobre LUNA, podeu anar a [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov) i LUNA.

01:00:23 Hi ha molts més detalls sobre LUNA?

01:00:27 Allà?

01:00:28 També podeu anar als llocs web del grup de defensa del pacient com FFP i Usher.

01:00:34 Coalition té un rastrejador d'assaigs clínics en directe i estem treballant amb altres grups d'arreu del món.

01:00:43 Així que a Sepul Bio, donem molta importància a treballar amb la comunitat juntament amb el fantàstic equip de la Coalició Usher.

01:00:54 També treballem amb altres grups de defensa d'arreu del món.

01:00:58 Així que també podeu contactar amb ells ara.

01:01:04 En resum, abans d'obrir-lo, obrir-lo per a preguntes, permeteu-me resumir ràpidament els punts clau que hem tractat.

01:01:15 Vam presentar l'estudi LUNA, que és un assaig clínic, un assaig clínic de fase dos centrat en individus amb retinosi pigmentària causada per mutacions en l'exó 13 del gen.

01:01:34 Vam parlar de la ciència darrere d'Ultevursen, el medicament de l'estudi, que és una teràpia dissenyada per restaurar una proteïna vital a l'ull i potencialment alenir o aturar la progressió de la malaltia.

01:01:48 Vam explicar com s'administra Ultevursen mitjançant injeccions intravítries comunes cada sis mesos.

01:01:56 Vam repassar el disseny de l'estudi.

01:01:58 És un assaig controlat aleatori que compara Ultevursen amb un procediment simulat i descriu què implica la participació, inclòs el calendari i els procediments de la visita.

01:02:13 Vam revisar els criteris d'elegibilitat, particularment el requisit per a la mutació específica de l'exó 13 en el gen i la capa fàcil per sobre de 2,2 mm.

01:02:29 Vam parlar dels possibles beneficis i riscos de participar en un assaig clínic.

01:02:38 Hem confirmat que es reemborsaran els costos relacionats amb l'estudi i el viatge.

01:02:45 I, finalment, us vam donar alguns recursos des d'on podríeu obtenir informació addicional.

01:02:53 Ara, estarem encantats de respondre qualsevol pregunta que puguis tenir.

01:03:12 Disculpa.

01:03:13 Hola a tothom.

01:03:13 Aquesta és Christa de nou.

01:03:15 Volia i gràcies, Andy, per tornar a pujar.

01:03:20 Sé que Andy ha estat ocupat responent moltes, moltes preguntes al final de la funció de preguntes i respostes.

01:03:27 Divya, això va ser una informació tremenda.

01:03:31 Moltes gràcies.

01:03:34 Crec que un parell de coses que volia assenyalar.

01:03:38 Potser podem Andy, podríeu llegir algunes de les preguntes si voleu respondre-les en directe.

01:03:44 I també vull donar a la gent assistent l'oportunitat d'aixecar la mà si necessiten fer una pregunta en llengua de signes.

01:03:52 I intentarem tornar a treballar per aconseguir que puguis parlar i, a continuació, activarem el vídeo perquè puguis fer-ho.

01:04:02 Amb això, Andy, t'ho permetré.

01:04:04 Sí, absolutament.

01:04:05 Divya, hem tingut algunes preguntes fantàstiques.

01:04:07 Així que gràcies a tots els membres de la comunitat que s'han pres el seu temps per escriure.

01:04:11 He estat furiosament intentant respondre tantes com he pogut.

01:04:14 Però primer, anirem.

01:04:17 Divya és només un que vaig injectar.

01:04:20 Si en l'estudi LUNA.
01:04:22 O s'injecten els dos ulls?
01:04:25 Sí.
01:04:26 Només un.
01:04:26 M'injectaran a l'estudi LUNA.
01:04:29 Això s'anomenarà l'estudi.
01:04:31 I i l'estudi I.
01:04:34 La determinació es fa per algunes coses.
01:04:38 El primer és, per descomptat, que sol ser el pitjor ull que veu entre els dos ulls.
01:04:44 I sí, així.
01:04:46 Per tant, només s'injectarà un ull durant l'estudi.
01:04:51 Això és genial.
01:04:51 Gràcies.
01:04:51 I en termes de com passa aquest procediment.
01:04:55 Hi ha gel anestèsic.
01:04:56 Algú es posa sota anestèsia.
01:04:58 Com ho rep algú?
01:04:59 I assegureu-vos que se sentin còmodes amb el procediment? D'acord.
01:05:03 Així que normalment per a una injecció intravítrea passen dues coses.
01:05:09 S'ha de fer amb precaucions estèrils.
01:05:13 Això vol dir que no volem que cap infecció entri a l'ull.
01:05:17 Així que els teus ulls estaran nets, estaràs en una taula, els teus ulls es netejaran amb iode de povidona per assegurar-te que ho sigui.
01:05:26 Tot és estèril.
01:05:28 Després es donarà anestèsia.
01:05:32 La majoria dels metges administren anestèsia mitjançant un dels dos mètodes.
01:05:36 Us donaran una petita injecció a la conjuntiva, que és la part blanca de l'ull.
01:05:43 És molt petit.
01:05:44 No sentiràs res que pugui adormir l'ull.
01:05:48 O també donen col·liris tòpics.
01:05:50 Això vol dir que posen les gotes als ulls.
01:05:53 Així que de qualsevol manera provoca un entumiment i i després per a vostè sap, també es posa un espècul perquè no parpellegi durant el procediment.
01:06:08 I després el que passa depèn de si és Ulteversen o farsa.
01:06:14 Per tant, si es tracta d'Ulteversen, la injecció s'administrarà a l'ull.
01:06:20 És amb una agulla molt petita de calibre 30, molt, molt fina.
01:06:24 Així que no sents res.
01:06:26 Si és una farsa, es col·loca l'extrem contundent de l'agulla.
01:06:31 Ja saps, en el blanc de l'ull.
01:06:33 I després de la injecció, se us controlarà per assegurar-vos que res no ha anat malament.
01:06:42 Se us donaran instruccions sobre amb qui contactar, què heu de tenir en compte i, a continuació, de cinc a 3 a 7 dies després del procediment.
01:06:52 De nou, l'equip de l'estudi us trucarà al lloc del vostre metge per veure si tot està bé.

01:07:01 I excel·lent.

01:07:02 Només treballant amb Krista al fons.

01:07:04 Així que faré una altra pregunta.

01:07:05 Per a algú en el procediment fals, òbviament hem parlat de rebre la injecció.

01:07:09 En què consisteix el procediment simulat?

01:07:12 I algú que és candidat al grup fals o al braç de control finalment rep tractament?

01:07:19 Sí.

01:07:20 Així que la primera part de la pregunta amb el procediment simulat, tot serà igual.

01:07:27 L'únic és que no hi havia agulla, de manera que l'agulla no penetrarà a l'ull.

01:07:33 És només l'extrem rom de la xeringa que tocarà el globus ocular.

01:07:38 D'acord.

01:07:38 Però en cas contrari tot serà igual.

01:07:42 La raó d'això és perquè ningú, excepte el metge que administra el medicament o el procediment simulat, sabrà en quin braç està.

01:07:54 Així que fins i tot el metge de l'estudi que t'està examinant no sabrà en quin braç ets.

01:07:59 Fins i tot els tècnics que estan comprovant la teva visió, prenent les teves fotografies, fent les teves proves no sabran en quin braç ets.

01:08:09 Fins i tot els patrocinadors no sabran en quin braç ets.

01:08:13 La raó d'això és mantenir els resultats de l'assaig el més imparcials possible.

01:08:22 Ara a la segona part de la teva pregunta.

01:08:26 Així, al final de l'assaig, tots els participants, ja sigui en el grup d'Ultevursen o en el grup simulat, tindran l'oportunitat de participar en un estudi obert on l'estudi s'injectarà amb Ultevursen.

01:08:46 Així que després de dos anys de l'estudi, els pacients falsos tenen ara l'oportunitat d'obtenir el fàrmac de l'estudi.

01:08:54 En l'estudi I, els pacients amb Ultevursen tornaran a tenir l'oportunitat de continuar rebent l'Ultevursen en l'estudi.

01:09:02 I i, per descomptat, això és si el vostre metge determina que això és el millor per a vosaltres, ja sigui un pacient fals o el pacient d'Ultevursen.

01:09:13 Gràcies.

01:09:13 Divya, aquesta és Krista parlant.

01:09:15 Ajudaré Andy a llegir algunes d'aquestes preguntes.

01:09:20 L'estudi implica un seguiment a llarg termini més enllà dels 24 mesos?

01:09:25 Sí sí.

01:09:27 Tan?

01:09:28 Així que, només per tornar al que he dit abans, després que tothom a l'estudi tingui l'oportunitat de rebre Ultevursen ara, ja sabeu, rebrà Ultevursen.

01:09:42 Així que per a aquells que ja estaven a Ultevursen, els seguirem durant dos anys més.

01:09:48 Així que això és un seguiment a llarg termini de quatre anys.

01:09:52 I per als que estan en el braç fals, de nou, tens dos, ja saps, dos anys més d'estar en l'estudi obert.

01:10:02 Gràcies.

01:10:02 I com a seguiment d'aquesta pregunta, s'espera que la persona necessiti una injecció cada sis mesos per evitar el deteriorament de la visió?

01:10:12 Sí.

01:10:12 Per tant, la vida mitjana retiniana d'aquest fàrmac és de nou mesos.

01:10:17 Per tant, el calendari d'injecció és cada sis mesos.

01:10:20 Sí.

01:10:22 D'acord.

01:10:22 Gràcies.

01:10:23 Aquesta és Krista.

01:10:25 Següent pregunta.

01:10:26 La mesura fàcil equival a una visió millorada en un sentit funcional.

01:10:31 I com es determina això.

01:10:34 Així que la capa fàcil té la capa fàcil són els fotoreceptors bé.

01:10:41 És realment mirar la integritat dels fotoreceptors en diverses condicions de l'ull.

01:10:49 Ja sigui la degeneració macular associada a l'edat, la diabetis i la inclusió en l'EPR, hi ha correlacions entre la capa fàcil i la funció de la visió.

01:11:01 Per tant, és un bon biomarcador substituït per a la visió.

01:11:07 Pronòstic de la visió.

01:11:11 Gràcies.

01:11:12 L'amplada dels ulls té alguna cosa a veure amb si el deteriorament de la vista ja ha començat, o és un criteri que difereix entre les persones, però no té res a veure amb la manifestació de la síndrome d'Usher Usher?

01:11:27 Així que la raó per la qual tenim aquesta amplada, l'amplada d'amplada mínima de 2,2 mm prové d'un estudi d'història natural anomenat USH2A del qual parlava.

01:11:40 La pressa per estudiar va mostrar que els pacients que tenien amplades fàcils de menys de 2,2 mm, el que equival a una àrea quadrada d'uns tres mil·límetres.

01:11:53 Aquests pacients tenien un efecte terra.

01:11:55 Això vol dir que no ha canviat tant.

01:12:00 Ara, he esmentat abans, un dels objectius d'un assaig és poder fer-ho en pacients on realment es pugui veure si el tractament està funcionant.

01:12:10 Per tant, si teniu facilitats molt estables, no podreu veure si un tractament funciona.

01:12:18 Aquesta és la raó per tenir aquest requisit d'amplada fàcil.

01:12:26 Gràcies.

01:12:27 Més sobre el fàcil amb ser elegible.

01:12:31 Nosaltres, com a pacient, necessitem saber l'amplada del nostre fàcil o hem de demanar als nostres metges que ho mesurin.

01:12:38 O és això una cosa que es mesura amb Sepul Bio.

01:12:40 I després ens dius si podem participar.

01:12:44 Sí.

01:12:44 Així que crec que definitivament necessitaríeu el vostre metge per mesurar-ho, oi?

01:12:51 Per mesurar el fàcil.

01:12:55 Bàsicament per veure si compleixes els requisits.

01:12:57 Així que tenim.

01:13:01 tenim en aquest estudi tenim una genètica tenim dos consentiments informats el consentiment informat principal.

01:13:10 I després també tenim un consentiment informat genètic.

01:13:13 L'avantatge d'això és el primer, el consentiment informat genètic, permet que l'informe genètic històric sigui revisat pels experts genètics, però també permet la seva història clínica.

01:13:26 Així, per exemple, el vostre OCT també ha de ser revisat per un metge del lloc d'estudi, de manera que no hàgiu de viatjar tot el camí que puguin, ja sabeu, poden mirar-ho i veure si s'ajusta als criteris.

01:13:42 Però el primer pas és, per descomptat, anar al metge de l'estudi.

01:13:45 Si poden mesurar el fàcil.

01:13:47 Això és fantàstic.

01:13:49 I ja saps, això funcionaria.

01:13:53 Dit això, un cop ho sabeu, heu signat el consentiment informat i ja sabeu, us examinen per a l'estudi com a part del procés d'estudi.

01:14:06 El tenim un centre de lectura independent anomenat el.

01:14:10 Ja saps, en el nostre cas, és el Duke Reading Center.

01:14:12 Tornaran a mesurar les facilitats.

01:14:16 I després es qualificaria en funció d'això.

01:14:19 D'acord.

01:14:23 Gràcies.

01:14:23 Divya, quins beneficis hi ha per incloure nens de vuit anys si encara no hi ha problemes oculars evidents.

01:14:33 Així que hi ha estudis d'història natural que han demostrat que la capa fàcil en particular.

01:14:40 Això vol dir que els fotoreceptors comencen a disminuir al voltant d'aquesta edat o més.

01:14:47 Així que aquesta és una gran pregunta.

01:14:50 Així que per qualificar-me per a aquest estudi, ja saps, vaig esmentar part de la inclusió, però també tenim un criteri d'exclusió.

01:14:57 I és a dir, ja saps, l'amplada fàcil té les vores del fàcil s'ha de veure a l'escaneig OCT.

01:15:05 Si les vores no es poden veure, això vol dir que la vostra facilitat és realment bona.

01:15:10 Això vol dir que coneixes la malaltia.

01:15:12 Almenys no es pot veure la malaltia fàcilment.

01:15:15 Així que aquests pacients tenen molt bones facilitats i no es qualifiquen perquè són massa bons per qualificar-se.

01:15:22 D'acord.

01:15:23 Gràcies.

01:15:25 Què passa si la retina ja s'ha despregut i la visió ja ha començat a deteriorar-se?

01:15:30 Deteriorar?

01:15:31 Aquest tractament potencial encara seria efectiu?

01:15:37 Així que.

01:15:38 El en aquest assaig, sabem que el pacient no es permetrà si si la visió està per sota d'un cert límit dret.

01:15:51 Així que és la visió de Snellen per al 2080.

01:15:54 Aquest és el límit superior.

01:15:57 Perdó.

01:15:57 Aquest és el límit inferior de la visió.

01:16:00 I de nou.

01:16:02 Ja sabeu, en termes de si el tractament ha de ser efectiu, si algú té una mutació en l'exó 13 del gen USH2A, llavors Ultevursen hauria de ser capaç d'actuar, però pot no ser com a part d'aquest assaig, no podrà ser inclòs com a part d'aquest assaig.

01:16:20 sí.

01:16:21 Gràcies.

01:16:22 Divya, faré una pausa aquí per permetre que un assistent parli i.

01:16:28 Feu la seva pregunta.

01:16:30 I Julia Dunning ho ets, hauries de poder parlar, activar el silenci i fer la teva pregunta.

01:16:44 Aquí venim.

01:16:44 Veig que no estàs silenciats.

01:16:48 Oh.

01:16:49 Oh.

01:16:49 Allà anem.

01:16:50 D'acord.

01:16:51 Sí d'acord.

01:16:53 No creia que estigués fent una pregunta específicament, però només estava comentant a Krista que la meva filla està en el judici NAC i he de dir, Divya, ho vas deixar increïblement clar des del principi el que passarà.

01:17:16 I això és que no sóc, no sóc, quina és la paraula que estic buscant?

01:17:21 No estic criticant el judici en què es troba la meva filla, però ho vam haver d'explicar unes quantes vegades i és i està diferent involucrat amb l'ull.

01:17:33 Però m'encanta la manera en què vas donar al final, els punts com aquest és el que vam revisar.

01:17:40 Això és el que vam discutir.

01:17:41 Això va ser molt útil tant per a la meva filla com per a mi per escoltar-lo de nou.

01:17:47 Però poseu-ho una mica més clarament.

01:17:50 I després nosaltres, ja saps, vam seguir endavant amb el judici.

01:17:55 Així que una feina absolutament fantàstica Siri.

01:17:58 Sí, simplement increïble.

01:18:00 sí.

01:18:00 Gràcies.

01:18:01 Moltes gràcies.

01:18:02 Sí, això és increïble.

01:18:05 Gràcies.

01:18:07 Una altra pregunta de la funció de preguntes i respostes és si hi ha efectes secundaris amb aquestes injeccions.

01:18:15 Sí.

01:18:15 Per tant, pot haver-hi efectes secundaris a causa de dues coses correctes.

01:18:21 Hi ha efectes secundaris a causa de la medicació de l'estudi.

01:18:23 I podeu tenir efectes secundaris a causa de la injecció.

01:18:26 Així que passaré per tots dos.

01:18:29 Així que hem estudiat Ultevursen en humans.

01:18:33 Tenim una mica més de dades de seguretat que el que es va fer en el primer assaig en humans.

01:18:40 Totalment.

01:18:40 Tenim 29 AIS que han estat tractades amb Ultevursen.

01:18:44 A partir d'ara, no tenim esdeveniments adversos oculars importants, ni esdeveniments adversos greus.

01:18:52 Dit això, ja saps, aquest és un judici més gran.

01:18:56 Ja saps, mirarem la seguretat.

01:18:59 I, per descomptat, es poden produir esdeveniments adversos amb qualsevol medicament de l'estudi.

01:19:05 Com he esmentat anteriorment, també podeu tenir efectes secundaris a causa del procediment d'injecció.

01:19:12 Així que ja sabeu, els efectes secundaris típics relacionats amb la injecció.

01:19:17 Pot haver-hi infecció o inflamació.

01:19:20 De vegades, una retina es pot desprendre perquè aquests procediments són molt comuns.

01:19:26 El risc d'aquests efectes secundaris és molt, molt baix.

01:19:30 Però no obstant això, encara ho és, ja saps, és que el risc encara hi és per part nostra.

01:19:38 Estem molt atents a la seguretat.

01:19:42 Per tant, estem veient una sèrie d'esdeveniments adversos d'especial interès.

01:19:47 Estem monitoritzant acuradament la seguretat dels pacients.

01:19:51 El nostre objectiu és mantenir els pacients segurs.

01:19:53 El nostre objectiu no només és oferir un tractament eficaç, sinó també oferir un tractament segur per als pacients.

01:20:03 Absolutament.

01:20:04 Gràcies.

01:20:04 Divya.

01:20:06 La següent pregunta que tinc és si teniu múltiples mutacions, inclosa la mutació a l'exó 13, encara s'espera que el tractament sigui efectiu?

01:20:20 Tan.

01:20:23 Depèn.

01:20:25 De fet, potser ho faré.

01:20:27 no ho faig.

01:20:28 Algú més sap la resposta a això.

01:20:31 Sé que necessitem pacients amb malaltia bial·lèlica.

01:20:35 Ja sabeu que a l'exó 13 pot ser homozigot o heterozigot.

01:20:40 Si és heterozigot, ha de ser en trans.

01:20:44 Però depèn de si aquestes variants són patògenes o no.

01:20:50 Així que jo, no sé que no sé del tot la resposta a això.

01:20:55 Podem tornar.

01:20:56 Aquell.

01:20:57 D'acord.

01:20:58 Perdó.

01:20:59 sí. sí.

01:20:59 És Andy parlant aquí.

01:21:01 Crec que en aquest cas, si teniu diversos exons que apareixen al vostre informe genètic, escriviu-nos a Sepul Bio o parleu amb el vostre oftalmòleg o especialista en IRD o assessor genètic i feu aquesta pregunta també.

01:21:16 Però si ens escriviu a Sepul Bio, a contactar a Sepul Bio, intentaré determinar i realment intentaré ajudar-vos a arribar al fons i, en última instància, realment són els centres d'assaigs clínics els que faran l'avaluació de la vostra sol·licitud de LUNA.

01:21:36 D'acord.

01:21:37 Gràcies.

01:21:38 Un altre assistent diu, Divya, en la teva presentació, has esmentat la injecció voluntat.

01:21:45 estar en el pitjor Jo per què no en el millor dels dos ulls per salvar la millor visió.

01:21:52 Tan.

01:21:55 Només una mica de fons, ja saps.

01:21:58 Així que esperem que els dos ulls siguin simètrics, ja saps, per participar en l'estudi.

01:22:04 Així que els dos ulls han de tenir visió del 2018, que és bastant bona visió.

01:22:11 I els dos ulls també han de tenir aquesta amplada fàcil.

01:22:14 Ara.

01:22:14 Ara amb els dos ulls simètrics que l'ull.

01:22:19 amb la pitjor visió es converteix en l'ull d'estudi.

01:22:24 D'acord.

01:22:27 Una de les raons per les quals hi ha moltes raons per a això.

01:22:31 La majoria dels assajos, la majoria dels comitès d'ètica només permeten que estiguin d'acord.

01:22:38 ser l'ull d'estudi.

01:22:41 Dit això en l'estudi, si la visió és la mateixa en ambdós ulls, llavors l'ull amb el més gran fàcil és l'ull d'estudi.

01:22:49 D'acord, així que en un nivell sí que estàs prenent el millor ull.

01:22:54 sí.

01:22:56 Gràcies.

01:22:56 Divya, hi ha contraindicacions a l'hora d'intentar concebre, quedar-se embarassada.

01:23:03 Bé gràcies.

01:23:03 Aquesta és una molt bona pregunta.

01:23:06 I em sap greu no haver-ho plantejat.

01:23:09 Així que aquest medicament s'administra per via intravenosa.

01:23:12 Es dona a l'ull.

01:23:14 Hem fet molts estudis amb animals.

01:23:17 No hi ha exposició sistèmica ni tan sols en el nostre estudi humà.

01:23:22 No hi ha exposició sistèmica.

01:23:25 No s'espera que hi hagi cap efecte, ja saps, en l'embaràs.

01:23:30 O dit això, quan estàs en l'assaig, les participants femenines han de sotmetre's a mètodes anticonceptius altament efectius.

01:23:44 I també els participants masculins. Dreta.

01:23:48 Així que les parelles femenines dels participants masculins, si en cada visita comprovarem si hi ha embaràs, si algú està embarassada, ja sabeu que el fàrmac de l'estudi ja no s'administrarà.

01:24:04 Així que mentre.

01:24:05 el pacient està en l'assaig, s'ha de seguir l'anticoncepció.

01:24:14 Gràcies.

01:24:15 Un assistent diu que, en el meu cas, el deteriorament de la visió s'ha produït durant dècades, no mesos.

01:24:21 Pot explicar per què creu que 24 mesos és una durada adequada per treure conclusions sobre l'eficàcia del tractament?

01:24:29 Sí.

01:24:29 Gràcies per aquesta pregunta.

01:24:30 Així que ara anem als punts finals d'aquest assaig.

01:24:35 Així que la visió perquè, com bé has dit, la visió i especialment la visió central requereix molt de temps.

01:24:41 De fet, pot ser estable fins al final.

01:24:45 Així que la visió no és un.

01:24:48 gran punt final de l'estudi.

01:24:50 Només perquè sabem que no ho veurem durant el període de dos mesos.

01:24:54 El que busquem són els canvis anteriors.

01:24:58 Així que buscarem la capa fàcil de la zona el·lipsoide, la taxa de canvi en la capa de la zona el·lipsoide.

01:25:04 Durant dos anys, buscarem molts canvis de visió lateral.

01:25:09 Així que mirant la perimetria de Statist, la perimetria de Statist de camp ampli.

01:25:13 També veurem la microperimetria.

01:25:17 Aquestes són les proves del camp visual.

01:25:19 Veurem la visió de baixa luminància.

01:25:22 Així que aquesta és la visió amb poca llum.

01:25:24 Aquests són criteris que poden canviar o que s'ha demostrat en estudis d'història natural que canvien més ràpidament que la visió central, que triga molt de temps perquè els cons centrals, els cons, els fotoreceptors i l'àrea central són molt, molt resistents.

01:25:43 Però encara estem comprovant la visió de seguretat perquè la visió també és una visió central perquè també és una seguretat important.

01:25:51 Endpoint.

01:25:53 Gràcies.

01:25:54 Divya.

01:25:56 Una altra pregunta.

01:25:57 Vostè va dir que el judici està obert ara.

01:25:59 Teniu una data límit per participar o és només la rapidesa amb què podeu reclutar fins a 81 participants?

01:26:05 Gràcies.

01:26:06 Per tant, el nostre objectiu és completar el reclutament a finals d'aquest any.

01:26:12 Per tant, si creieu que podeu ser elegible, sabeu que coneixeu membres de la família que poden ser elegibles, poseu-vos en contacte amb nosaltres.

01:26:22 Podeu contactar amb les adreces de correu electrònic allà o podeu contactar amb el vostre metge.

01:26:27 Esperem reclutar i acabar el reclutament a finals d'aquest any.

01:26:33 Gràcies.

01:26:34 Meravellós.

01:26:37 Un assistent pregunta: Sóc cuidador de tres germans amb aquesta síndrome, de 36, 45 i 46 anys.

01:26:46 Un d'ells ja ha perdut completament la vista.

01:26:49 Serien elegibles?

01:26:52 Em sap molt greu saber-ho.

01:26:56 El participant que va perdre la vista.

01:27:01 És poc probable que siguin elegibles per a l'estudi perquè l'estudi té un límit d'agudes visual de 2080 o.

01:27:11 Més.

01:27:13 Gràcies.

01:27:14 Divya.

01:27:15 L'última pregunta.

01:27:16 Ens queda un minut més en aquest seminari web.

01:27:19 I l'última pregunta que tinc per a tu, Divya, quin seria el millor resultat de l'estudi quan obtinguis els resultats i les dades finals?

01:27:28 Sí, el millor resultat seria que mostrem que Ultevursen redueix la taxa de degradació dels fotoreceptors.

01:27:37 Per tant, està evitant que aquestes cèl·lules es degenerin.

01:27:41 És tenir i en virtut d'això, també està tenint efectes en la teva funció visual.

01:27:47 Que així sigui.

01:27:48 En reduir la velocitat de la perimetria, ja sabeu, el camp visual, la regressió o, ja sabeu, en termes de visió de luminància, potser, ja sabeu, ajudant amb això, ajudant amb el laberint, el laberint de realitat virtual.

01:28:08 Tenim qüestionaris, els pacients del braç d'Ultevursen tenen, ja saps, respondre millor i respondre millor al laberint.

01:28:15 Per tant, l'objectiu és que més pacients del braç d'Ultevursen responguin a les proves estructurals que estem fent o a totes les proves funcionals que estem fent en comparació amb el braç simulat.

01:28:31 Gràcies Divya.

01:28:32 Tinc una persona més que crec que vol fer la seva pregunta en veu alta.

01:28:37 Ho faré.

01:28:38 Aquesta és la diva Mourinho.

01:28:41 Mourinho.

01:28:42 Tens la capacitat de parlar.

01:28:46 Et donaré un segon.

01:28:47 Si pots fer la teva pregunta.

01:28:51 I haureu de desactivar el silenci.

01:28:57 I si això no funciona ara mateix, nosaltres, com que estem al final del nostre temps aquí per a aquest seminari web, tenim registrades totes les preguntes que es van enviar a les preguntes i respostes.

01:29:09 Tenim les respostes que Andy estava escrivint amb tanta diligència al llarg de la presentació de Divya.

01:29:15 També es va gravar.

01:29:16 Ens assegurarem d'arribar a aquestes preguntes.

01:29:20 Aquelles persones que tenen preguntes sense resposta encara, i assegureu-vos que obtenen respostes i qualsevol altra pregunta que tingueu.

01:29:27 Divya ha proporcionat aquesta informació de contacte.

01:29:29 Divya, vols recordar a tothom el correu electrònic per contactar just en aquest últim moment?

01:29:35 Sí.

01:29:35 És contacte a Sepul Bio punt com.

01:29:40 Gràcies.

01:29:41 Tant.

01:29:41 sí.

01:29:42 Sí.

01:29:43 Vegeu p u l b l o.

01:29:46 Sí.

01:29:46 Com.

01:29:48 Això és.

01:29:48 Tot això ha estat fantàstic.

01:29:50 Gràcies de nou.

01:29:50 Estem molt agraïts per la vostra col·laboració amb Sepul Bio.

01:29:55 I esperem continuar proporcionant educació i informació sobre aquest assaig LUNA a la comunitat i fer tot el possible per donar suport als vostres esforços per reclutar aquests 81 participants.

01:30:07 Així que gràcies per la feina que esteu fent.

01:30:11 Gràcies.

01:30:12 Gràcies.

01:30:13 Gràcies per l'oportunitat.

01:30:14 Gràcies per tots els que ens van escoltar.

01:30:17 Gràcies a tots.

01:30:18 Gràcies.

01:30:19 D'acord.

01:30:19 Ves amb compte.

01:30:20 Gràcies.

01:30:20 sí.

01:30:21 Adéu.