

1. Rozhodnutí společnosti Prosensa pokračovat, i když velmi pozitivní, bude představovat problém pro tým GSK. Sloučenina byla dále optimalizována od počátku experimentu a je přizpůsobena každému jednotlivému exonu, které jsou jen obtížně srovnatelné. Zprávy z obou společností, pracujících na stejném páteřním projektu chemie, ale musí být v souladu.

- GSK exkluzivně licencovala drisapersen a rozhodnutí o pozastavení dávkování drisapersenu je jejich rozhodnutím. I když produkty exon skippingu se stejnou páteřní chemií jsou podobné, nejsou stejné. Různé skupiny pacientů se také mohou lišit z hlediska přístupnosti na určitý skipping. Prosensa je nadále odhodlána k pokračování v práci na drisapersenu, v programu Duchenne obecně i v práci pro komunitu DMD. Během nadcházejícího období, ve kterém se údaje z různých studií s drisapersenem detailněji analyzují, budou Prosensa programy pokračovat. Očekáváme, že výsledky analýzy budou poskytovat větší vhled do účinků drisapersenu a tedy i do dopadu na klinické programy Prosensa.

2. Moje poslední otázka a komentář se týká dialogu s regulačními orgány ohledně jejich sloučeniny, a také exon skippingu jako technologii a platformě obecně. Například: Bude to znamenat zpoždění pro regulační milníky u dalších chemických sloučenin a preparátů na bázi antisense. Můžete to osvětlit?

- Je příliš brzy předpovídat dopad fáze 3 a jejích výsledků na časový plán a regulační mezníky programů Prosensa. Budeme muset počkat na výsledky plně po vyhodnocení profilu přínosů vs. rizik léčby drisapersenem ve všech studiích. Pak můžeme očekávat lepší pochopení těchto dat.

3. Mohl byste zopakovat prohlášení, které Prosensa vydala ohledně vlivu údajů ze studií s drisapersenem na programy Prosensa, prosím?

- Zatímco jsme zklamáni a překvapeni nečekaným výsledkem drisapersenové studie fáze 3, zůstáváme velmi zainteresovaní v drisapersenu, v programu Duchenne i komunitě DMD obecně. Budeme i nadále úzce spolupracovat s GSK na tom, bychom dokázali lépe pochopit data, a to i v rámci druhých, placebem kontrolovaných studií a otevřených studií. GSK oznámila, že potřebuje další čas pro úplné vyhodnocení profilu přínosů vs. rizik léčby drisapersenem ve všech studiích. GSK oznámila, že očekávají, že toto hodnocení bude dokončeno do konce roku. V nadcházejícím období, v němž jsou údaje z různých drisapersenových studií nadále podrobněji analyzovány, bude Prosensa ve svých programech pokračovat.

Očekáváme, že výsledky analýz budou poskytovat větší vhled do účinků drisapersenu a také ohledně dopadu na programy Prosensa.

Jsme velmi vděční rodinám, které podporují Prosensa programy. Budeme pokračovat v komunikaci nových informací tak, jak se očekává.