



December 22, 2020

Estimados miembros de la comunidad:

Se aproxima el final de un año inolvidable y nos gustaría compartir con ustedes algunas de nuestras reflexiones y observaciones acerca de nuestro compromiso con ustedes. También quisiéramos compartir con ustedes un documento que hemos diseñado con la esperanza de responder a sus preguntas acerca de nuestro programa clínico UNITE-CNM.

Nuestro programa:

Hemos comenzado el desarrollo clínico de nuestro producto en investigación candidato DYN101 con un ensayo clínico de fase 1/2 y se ha empezado a administrar este producto en los primeros pacientes. El objetivo de UNITE-CNM es conocer la seguridad y tolerabilidad de DYN101 en pacientes a partir de 16 años con miopatía miotubular ligada al cromosoma X o XLCNM (*mutación del gen MTM1*) o con MCN autosómica dominante o ADCNM (*mutación del gen DNM2*). Comprendemos que estén impacientes por conocer el progreso logrado en este estudio, pero estamos sujetos a las limitaciones establecidas por la normativa que rige los ensayos clínicos en cuanto a la información que podemos compartir. Se facilita más información sobre el ensayo en un documento de preguntas frecuentes, que se puede consultar en numerosos idiomas [aquí](#). Les invitamos a consultar las actualizaciones periódicas en nuestro sitio web.

Nuestra conexión con ustedes:

En 2020 Dynacure empezó a colaborar con una representante de una asociación de pacientes, llamada Lori Gorski. Lori ha podido conocer de primera mano muchas historias acerca de la vida cotidiana y las esperanzas para el futuro de varias familias de la comunidad. La gran mayoría de las familias de la comunidad nos han comunicado que el cuidado de un ser querido con cualquier forma de MCN se ha complicado considerablemente durante la pandemia de COVID. Los cuidadores con los que hemos hablado son los expertos en estas enfermedades, que muestran una tenaz dedicación al bienestar de sus seres queridos y que constituyen ejemplos de héroes de la vida real que viven entre nosotros. Pretendemos seguir contactando con más familias en el próximo año, ya que cada uno de estos contactos nos permite aprender algo.

En 2020 también tuvimos la oportunidad de participar en varias reuniones de pacientes para responder a sus preguntas y recabar sus impresiones. Para nosotros es muy importante este compromiso con ustedes y estamos agradecidos a los responsables de las organizaciones de pacientes por incluirnos. Si todavía no forma parte de la comunidad global de asociaciones de pacientes, le animamos a ponerse en contacto con las asociaciones de pacientes de su zona, ya que es la mejor forma de mantenerse en contacto e informado como comunidad.

Nuestra admiración y esperanza:

Por último, aunque este año ha sido complicado para todos, sabemos que 2020 ha sido especialmente difícil para todas las personas con miopatías miotubulares y centronucleares y para sus cuidadores. Su capacidad de resistencia nos resulta inspiradora y nos sentimos honrados y agradecidos de acompañarles en este viaje. Deben saber que seguimos centrados en el avance de nuestro progreso clínico y en identificar nuevas formas



de comprender mejor y apoyar a su comunidad en todo el mundo. Estamos seguros de que vendrán tiempos mejores.

En representación de cada una de las personas que forman parte de Dynacure, les deseamos unas felices fiestas y un próspero año nuevo.

Stephane van Rooijen
Director ejecutivo
Dynacure

