



Chers membres de la communauté des patients,

Puisque nous voilà parvenus au terme d'une année mémorable, permettez-moi de vous faire part de quelques-unes de nos réflexions et observations en rapport avec notre engagement auprès de vous. Je souhaite également vous transmettre un document dont j'espère qu'il répondra aux questions qui vous viennent à l'esprit concernant notre programme clinique UNITE-CMN.

Notre programme :

Nous avons débuté le développement clinique de notre produit expérimental candidat, le DYN101, par une étude clinique de phase 1/2 et avons traité les premiers patients. L'objectif de l'étude UNITE-CMN est d'en apprendre davantage sur la sécurité et la tolérance de DYN101 chez des patients de 16 ans et plus atteints de myopathie centronucléaire liée au chromosome X (XLCNM) (*mutation du gène MTM1*) ou de myopathie centronucléaire autosomique dominante (ADCNM) (*mutation du gène DNM2*). Nous comprenons que vous êtes impatients de connaître l'état d'avancement de cette étude, mais les informations que nous sommes autorisés à vous transmettre sont limitées, cela en raison des directives réglementaires imposées pour les études cliniques. Vous trouverez de plus amples informations sur l'étude dans un document multilingue reprenant les questions fréquemment posées, disponible [ici](#). Nous vous invitons à rechercher régulièrement les mises à jour sur notre site Internet.

Notre lien avec vous :

En 2020, nous avons engagé chez Dynacure un responsable de la défense des patients du nom de Lori Gorski. Lori a eu le privilège d'entendre de nombreux récits de première main de familles de patients ayant traité à leur vie quotidienne et à leurs espoirs pour l'avenir. Nous avons entendu dire à de multiples reprises de la part de la communauté que prendre soin d'un être cher atteint d'une forme quelconque de myopathie centronucléaire est devenu bien plus difficile au cours de la pandémie de COVID. Les soignants avec qui nous avons discuté sont des experts de ces maladies, leur engagement pour assurer le bien-être de la personne qui leur est chère est permanent et ils constituent des exemples de héros de la vie de tous les jours au sein de notre entourage. Nous comptons continuer à contacter encore plus de familles l'année prochaine car chacune de ces rencontres nous en apprend davantage.

Nous avons également eu l'opportunité, en 2020, de participer à plusieurs réunions de patients, de répondre à vos questions et d'entendre vos commentaires nous concernant. Nous avons valorisé cet engagement auprès de vous et nous sommes reconnaissants aux dirigeants des organisations de défense des patients de nos avoir permis de nous joindre à vous. Si vous ne faites pas encore partie de la communauté mondiale de défense des patients, je vous engage à vous mettre en relation avec les organisations de votre région car il s'agit du meilleur moyen de rester en contact et de se tenir informé en tant que communauté.

Notre admiration et notre espoir :

Pour conclure, même si nous avons tous dû faire face à une année difficile, nous savons que 2020 a été particulièrement dure pour toutes les personnes confrontées à la myopathie myotubulaire et centronucléaire et ceux qui prennent soin d'eux. Votre résilience est admirable et nous sommes honorés et reconnaissants de faire partie de ce voyage avec vous. Sachez que nous restons concentrés sur l'avancement de notre



programme clinique et l'identification de nouveaux moyens de mieux comprendre et soutenir votre communauté partout dans le monde. Nous espérons que l'avenir nous réserve des jours meilleurs.

Au nom de chacun d'entre nous chez Dynacure, nous vous souhaitons des fêtes de fin d'année chaleureuses et une bonne et heureuse année.

Stephane Van Rooijen
Président-directeur
général
Dynacure

