



December 22, 2020

Gentile comunità,

Permettetemi di condividere con voi alcune delle riflessioni e delle osservazioni emerse dal nostro impegno, in vista della fine di un anno indimenticabile. Vorrei anche condividere con voi un documento che speriamo possa rispondere alle vostre domande sul nostro programma clinico, UNITE-CNM.

Il nostro programma

Abbiamo iniziato lo sviluppo clinico del nostro prodotto sperimentale candidato DYN101 con uno studio clinico di Fase 1/2 e abbiamo somministrato le prime dosi ai primi pazienti. L'obiettivo di UNITE-CNM è di conoscere la sicurezza e la tollerabilità di DYN101 in pazienti di almeno 16 anni, con miopia miotubolare X-linked, o XLCNM (mutazione del gene MTM1), o CNM autosomica dominante, o ADCNM (mutazione del gene DNM2). Comprendiamo che siete ansiosi di conoscere i nostri progressi in questo studio, ma siamo limitati in ciò che possiamo condividere a quanto previsto dal quadro delle linee guida normative stabilite per gli studi clinici. Maggiori informazioni sulla sperimentazione si possono trovare in un documento con domande frequenti in più lingue, che troverete [qui](#). Vi invitiamo a controllare periodicamente gli aggiornamenti sul nostro sito web.

La nostra connessione con voi

Nel 2020, abbiamo introdotto in Dynacure una persona di contatto per il supporto ai pazienti, il suo nome è Lori Gorski. Lori è stata molto fortunata ad ascoltare molte storie di prima mano da parte delle famiglie della comunità sulla loro vita quotidiana e sulle loro speranze per il futuro. Abbiamo colto con grande evidenza dalla comunità che la cura di una persona cara con qualsiasi forma di CNM è diventata profondamente più impegnativa durante la pandemia di COVID. Gli assistenti con cui abbiamo parlato sono esperti di queste malattie, la loro attenzione per il benessere dei loro cari è incessante e sono esempi intorno a noi di eroi del mondo reale. Intendiamo continuare a raggiungere altre famiglie durante il prossimo anno perché abbiamo appreso qualcosa da ognuno di questi incontri.

Nel 2020 abbiamo anche avuto l'opportunità di partecipare a diversi incontri con i pazienti, di rispondere alle vostre domande e di ascoltare il vostro feedback per noi. Abbiamo apprezzato questo impegno nei vostri confronti e siamo grati ai responsabili delle organizzazioni di tutela per averci incluso. Se non fate già parte della comunità globale di tutela dei pazienti, vi incoraggio a cercare le organizzazioni di tutela nella vostra regione quale modo migliore per rimanere connessi e informati come comunità.

La nostra ammirazione e la nostra speranza

Infine, pur avendo tutti affrontato un anno impegnativo, sappiamo che il 2020 è stato particolarmente difficile per tutte le persone che vivono con miopatie miotubolari e centronucleari e per chi si prende cura di loro. La vostra resilienza è fonte di ispirazione e siamo onorati e grati di far parte di questo viaggio con voi. Sappiate che rimaniamo concentrati sull'avanzamento del nostro programma clinico e sull'identificazione di nuovi modi per comprendere meglio e sostenere la vostra comunità in tutto il mondo. Confidiamo in tempi migliori.

A nome di ognuno di noi di Dynacure, vi auguriamo Buone Feste e Felice Anno Nuovo.



Stephane Van Rooijen
Amministratore delegato
Dynacure

