



Beste gemeenschap,

Nu we aan het einde komen van een onvergetelijk jaar, wil ik graag iets van onze gedachten en observaties delen over ons contact met jullie. Ook deel ik graag een document met jullie dat hopelijk de vragen beantwoordt die jullie hebben over ons klinische programma UNITE-CNM.

Ons programma:

We zijn de klinische ontwikkeling van ons onderzoeksproduct DYN101 begonnen met een klinisch fase 1/2-onderzoek. De eerste patiënten hebben het medicijn al gekregen. Het doel van UNITE-CNM is om de veiligheid en verdraagbaarheid van DYN101 te onderzoeken bij patiënten > 16 met X-gebonden myotubulaire myopathie/XLCNM (*genmutatie in MTM1*) of autosomaal dominante CNM/ADCNM (*genmutatie in DNM2*). We begrijpen dat jullie graag meer willen weten over de voortgang van ons onderzoek, maar we zijn helaas beperkt in wat we mogen delen volgens de wettelijke richtlijnen voor klinisch onderzoek. Meer informatie over het onderzoek is te vinden in het document met veelgestelde vragen, in meerdere talen. U vindt het [hier](#). We adviseren u om regelmatig op onze website kijken voor updates.

Ons contact met jullie:

In 2020 stelden we een Hoofd Patiëntenbelangen aan voor Dynacure: Lori Gorski. Lori heeft het geluk gehad om uit eerste hand vele verhalen te mogen horen van families uit de gemeenschap, over hun dagelijks leven en hun wensen voor de toekomst. De gemeenschap vertelde ons luid en duidelijk dat de zorg voor een naaste met een vorm van CNM aanzienlijk moeilijker is geworden door de COVID-pandemie. De verzorgers die we hebben gesproken weten ontzettend veel over deze ziektes, ze zetten zich onvermoeibaar in voor het welzijn van hun naasten en zij zijn het levende bewijs dat helden echt bestaan. We zijn van plan om komend jaar met nog meer families in contact te komen, omdat we van elke ontmoeting leren.

We hebben in 2020 ook aan verschillende patiëntenbijeenkomsten kunnen deelnemen, om jullie vragen te beantwoorden en naar jullie feedback voor ons te luisteren. We vinden dit contact met jullie erg waardevol en we zijn de bestuursleden van de belangenorganisaties dankbaar dat ze ons erbij betrekken. Als u nog geen lid bent van de wereldwijde gemeenschap die zich inzet voor patiëntenbelangen, adviseren we u om een belangenorganisatie in uw regio te zoeken. Dit is de beste manier om als gemeenschap op de hoogte te blijven.

Onze waardering en hoop:

Tot slot: hoewel het afgelopen jaar voor iedereen moeilijk was, weten we dat 2020 extra lastig is geweest voor mensen die leven met myotubulaire en centronucleaire myopathieën en hun verzorgers. We zijn geïnspireerd door jullie veerkracht en we voelen ons vereerd en dankbaar dat we deze weg samen met jullie mogen bewandelen. Onthoud dat we ons volledig blijven inzetten om verder te komen met ons klinische programma en om nieuwe manieren te ontdekken om jullie gemeenschap wereldwijd beter te begrijpen en te ondersteunen. We hopen dat er betere tijden zullen aanbreken.



Namens iedereen bij Dynacure wensen we u warme feestdagen en een gelukkig nieuwjaar.

Stephane van Rooijen
Chief Executive Officer
Dynacure

