



Szanowni członkowie społeczności,

pozвольcie — że zanim ten niezapomniany rok dobiegnie końca — podzielę się z Wami naszymi refleksjami oraz obserwacjami z kontaktów z Wami. Pragnę również udostępnić Wam dokument, którego celem jest udzielenie odpowiedzi na pytania dotyczące naszego programu badań klinicznych o nazwie UNITE-CNM.

Nasz program:

Rozpoczęliśmy prace kliniczne nad kandydatem na produkt badany (DYN101), uruchamiając badanie kliniczne fazy 1–2, w ramach którego podaliśmy dawki pierwszym pacjentom. Celem programu UNITE-CNM jest uzyskanie informacji o bezpieczeństwie i tolerancji produktu DYN101 u pacjentów w wieku 16 lat i starszych z miopatią miotubularną sprzężoną z chromosomem X, czyli XLCNM (*wywołaną przez mutację genu MTM1*), albo miopatią CNM dziedziczną autosomalnie dominująco, czyli ADCNM (*wywołaną przez mutację genu DNM2*). Rozumiemy, że z niepokojem oczekujecie Państwo na informacje o postępach tego badania, ale zakres informacji, którymi możemy się podzielić, jest ograniczony ze względu na obowiązujące wymogi prawne dotyczące badań klinicznych. Więcej informacji o wspomnianym badaniu klinicznym można uzyskać w dokumencie zawierającym odpowiedzi na najczęściej zadawane pytania w wielu językach, który można znaleźć [tutaj](#). Zapraszamy do regularnego odwiedzania naszej witryny internetowej, na której będą się pojawiać najnowsze doniesienia.

Nasze kontakty z Wami:

W roku 2020 zatrudniliśmy Lori Gorski na stanowisku kierownika działu rzecznictwa pacjentów. Lori miała szczęście wysłuchać opowieści rodzin ze społeczności dotyczących ich codziennego życia i nadziei na przyszłość. Ze społeczności otrzymaliśmy bardzo wyraźny przekaz, że zajmowanie się najbliższą osobą z jakąkolwiek postacią miopatii CNM stało się wyjątkowo trudne podczas pandemii choroby COVID. Opiekunowie, z którymi rozmawialiśmy, są ekspertami ds. tych chorób, a stopień ich zaangażowania w dobrobyt ich najbliższych nie słabnie. Są oni przykładami prawdziwych bohaterów wśród nas. Naszym celem na przyszły rok jest nawiązywanie kontaktów z kolejnymi rodzinami, ponieważ każde takie spotkanie jest dla nas okazją do nauki i poszerzania wiedzy.

W roku 2020 mieliśmy również możliwość uczestniczenia w kilku spotkaniach pacjentów, podczas których odpowiadaliśmy na Wasze pytania i wsluchiwalismy się w opinie o nas. Bardzo cenimy sobie możliwość takich kontaktów i jesteśmy wdzięczni organizacjom rzeczników za uwzględnienie nas w tych spotkaniach. Jeśli jeszcze nie należycie Państwo do globalnej społeczności rzeczników pacjentów, zachęcamy do wyszukania organizacji rzeczników w swoim regionie, ponieważ są one najlepszym sposobem na nawiązywanie kontaktów i otrzymywanie najnowszych informacji ze społeczności.

Wyrazy podziwu i nadzieja na przyszłość:

Rok 2020 był dla nas wszystkich pełen wyzwań, ale wiemy, że był on szczególnie trudny dla wszystkich ludzi żyjących z miopatiami miotubularnymi i centronuklearnymi oraz dla ich opiekunów. Wasza zdolność do pokonywania trudności jest inspirująca. Jesteśmy pełni wdzięczności za to, że możemy uczestniczyć w tej podróży z Wami. Chcemy Wam przekazać, że koncentrujemy się na postępach naszego programu badań



klinicznych i rozwijaniu nowych metod lepszego zrozumienia i wspierania Waszej społeczności na całym świecie. Mamy nadzieję, że nadejdą lepsze czasy.

W imieniu nas wszystkich w Dynacure życzę Wam Spokojnych Świąt i Szczęśliwego Nowego Roku.

Stephane van Rooijen
Dyrektor Generalny
Dynacure

