



PEPGEN ADVOCACY

A QUARTERLY NEWSLETTER FOR THE PATIENT ADVOCACY ORGANIZATIONS AND COMMUNITIES ENGAGED WITH PEPGEN

DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY

- January 8th: PepGen announced that we successfully dosed the first person in the CONNECT1-EDO51 study. Read more [here](#).
 - Preliminary data for the safety, exon 51 skipping and dystrophin production is expected in mid-2024 for the 5 mg/kg cohort.
- March 4th: PepGen announced clearance of our Clinical Trial Application (CTA) by the United Kingdom Medicines & Healthcare Products Regulatory Agency to begin CONNECT2-EDO51, a Phase 2 Clinical Trial designed to support potential accelerated approval of PGN-EDO51 in the USA for the Treatment of Duchenne Muscular Dystrophy. Read more [here](#).
- March 13th: PepGen received United States FDA Orphan Drug and Rare Pediatric Disease Designations for PGN-EDO51 for the Treatment of Duchenne Muscular Dystrophy. Read more [here](#).

MYOTONIC DYSTROPHY TYPE 1

- February 20th: PepGen received U.S. FDA Fast Track Designation for PGN-EDODM1 for the Treatment of Myotonic Dystrophy Type 1. Read more [here](#).

CONNECT1-EDO51

The CONNECT1-EDO51 clinical trial is a Phase 2 research study for people who are living with DMD. The study will test whether an investigational drug, called PGN-EDO51, is safe and tolerable for boys and men with Duchenne, amenable to exon 51 skipping. CONNECT1-EDO51 is actively enrolling in Canada. More information can be found by visiting the websites below:

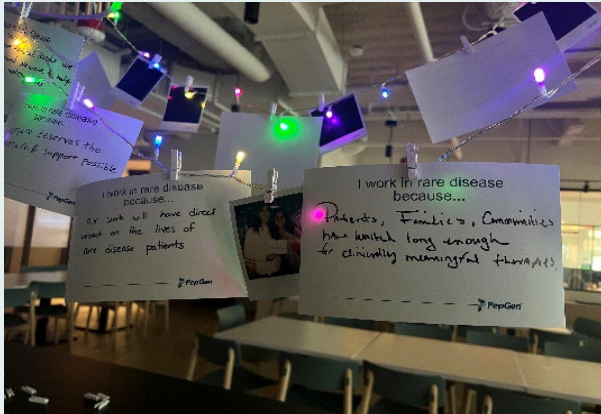
- [Connect1 Study Website](#)
- [Clinicaltrials.gov Listing](#)

FREEDOM-DM1

The FREEDOM-DM1 study is a Phase 1 study that is exploring whether a single dose of the investigational drug, called PGN-EDODM1, is safe and tolerable for people with DM1 compared to placebo. FREEDOM-DM1 is actively enrolling in the US and Canada. More information can be found by visiting the websites below:

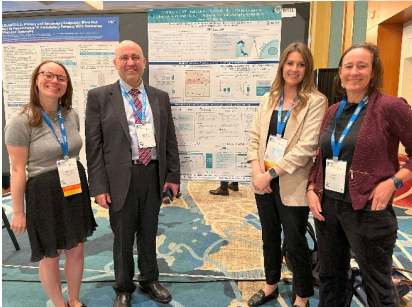
- [FREEDOM-DM1 Website](#)
- [Clinicaltrials.gov Listing](#)

Q1 COMMUNITY HIGHLIGHTS



RARE DISEASE DAY

Staff gathered on Rare Disease Day to celebrate and honor those who are impacted by a rare disease by hosting a watch party of Jett Foundation's Thriving With Duchenne Rare Disease Day [webinar](#). We also filled out and shared cards describing why we work in rare disease and what we have learned from the communities that we serve. Check out PepGen lighting up for Rare [here!](#)



2024 CONFERENCE SEASON

PepGen recently attended the 2024 Muscular Dystrophy Association conference where we had a booth & presented posters on PGN-EDODM1 and PGN-EDO51. PepGen also attended the first of a six-part regional Myotonic Dystrophy Foundation conference series where we had a table & presented on PGN-EDODM1. Our team enjoyed connecting with the neuromuscular disorder community at both meetings.



DMD COMMUNITY SCIENCE DAYS

The Patient Advocacy team hosted our first annual Community Science Day for families living with DMD in January. Science Camp activities included a lab tour and STEM activities with our fellow PepGen staff. We look forward to hosting more sessions in the future.

Previous versions of this newsletter and their translations are available at pepgen.com/community

 www.PepGen.com

 Email: community@pepgen.com

Follow us on X and LinkedIn  



INTERVENCIONES DE PEPGEN - BOLETÍN DEL PRIMERE TRIMESTRE

BOLETÍN TRIMESTRAL PARA LAS ORGANIZACIONES DE DEFENSA
DEL PACIENTE Y LAS COMUNIDADES VINCULADAS A PEPGEN

DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE

- 8 de enero : PepGen anunció la administración exitosa de una dosis al primer paciente del estudio CONNECT1-EDO51. Conozca más [aquí](#).
 - Se espera que obtengamos datos preliminares sobre la seguridad, omisión del exón 51 y producción de distrofina a mediados de 2024 para la cohorte de 5 mg/kg.
- 4 de marzo: PepGen anunció la aprobación de nuestra Solicitud de Aprobación de Ensayo Clínico (en inglés, CTA) por parte de la Agencia Reguladora de Medicamentos y Productos Sanitarios del Reino Unido para comenzar CONNECT2-EDO51, un ensayo clínico de Fase 2 diseñado para promover la posible aprobación acelerada de PGN-EDO51 en los EE.UU. para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne. Continúe leyendo [aquí](#).
- 13 de marzo: PepGen recibió las designaciones otorgadas por la FDA de Medicamento huérfano y Enfermedad pediátrica rara para PGN-EDO51 en el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne. Continúe leyendo [aquí](#).

DISTROFIA MIOTÓNICA TIPO 1

- 20 de febrero: PepGen recibió la aprobación acelerada de la FDA de los Estados Unidos para la utilización de PGN-EDODM1 en el tratamiento de la distrofia miotónica tipo 1. Más [aquí](#).

CONNECT1-EDO51

CONNECT1-EDO51 es un ensayo clínico de Fase 2 para pacientes con DMD. El estudio determinará si un medicamento en investigación, llamado PGN-EDO51, es seguro y tolerable para niños y hombres con Duchenne, susceptibles a la omisión del exón 51. CONNECT1-EDO51 está en proceso de inscripción en Canadá. Encuentre más información en los siguientes enlaces:

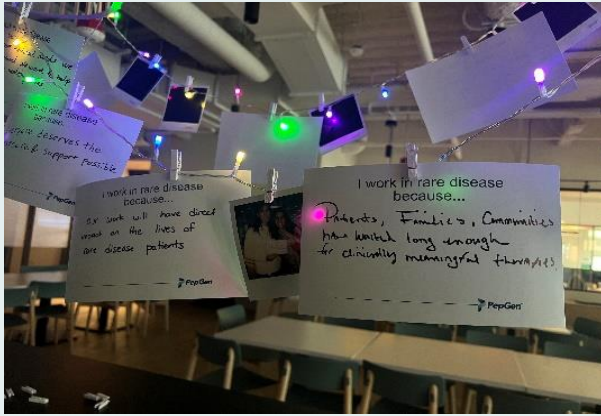
- [Sitio web del ensayo Connect1](#)
- [Listado en Clinicaltrials.gov](#)

FREEDOM-DM1

FREEDOM-DM1 es un ensayo clínico de fase 1 que busca determinar si una sola dosis del medicamento en investigación llamado PGN-EDODM1 es seguro y tolerable para pacientes con DM1 en comparación con un placebo. FREEDOM-DM1 está en proceso de inscripción en EE. UU. Y en Canadá. Encuentre más información en los siguientes enlaces:

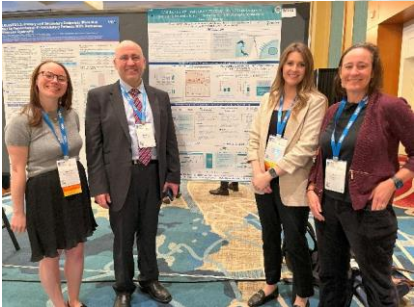
- [Sitio web de FREEDOM-DM1](#)
- [Listado en Clinicaltrials.gov](#)

DESTACADOS DE LA COMUNIDAD DEL PRIMER TRIMESTRE



DÍA DE LAS ENFERMEDADES POCO FRECUENTES

Nuestro personal se reunió el Día de las Enfermedades Poco Frecuentes para celebrar y homenajear a los afectados por estas enfermedades con la reproducción del seminario web de la Jett Foundation, "Thriving With Duchenne". También expresamos por qué trabajamos con enfermedades poco frecuentes y compartimos lo que hemos aprendido de la comunidad. ¡Más [aquí!](#)



TEMPORADA DE CONFERENCIAS 2024

PepGen asistió recientemente a la conferencia de la Muscular Dystrophy Association 2024, en la que tuvimos un stand y expusimos láminas sobre PGN-EDODM1 y PGN-EDO51. PepGen también participó en la primera de las seis conferencias regionales de la Myotonic Dystrophy Foundation, donde presentamos PGN-EDODM1. Para nuestro equipo, fue muy grato estar cerca de la comunidad con trastornos neuromusculares en ambos encuentros.



DIAS DE CIENCIA CON LA COMUNIDAD DE DMD

En enero, el equipo de Defensa del Paciente organizó nuestro primer Día de Ciencia para la Comunidad destinado a las familias que conviven con DMD. Las actividades del campamento de ciencias incluyeron una visita al laboratorio y actividades STEM con nuestros compañeros de PepGen. Esperamos organizar más eventos como este en el futuro.

Acceda a las publicaciones anteriores de este boletín y sus traducciones en pepgen.com/community

LE PLAIDOYER PEPGEN - BULLETIN DU 4E TRIMESTRE

UN BULLETIN TRIMESTRIEL POUR LES ORGANISATIONS DE DÉFENSE
DES PATIENTS ET LES COMMUNAUTÉS ENGAGÉES AVEC PEPGEN

LA MALADIE DE DUCHENNE DE BOULOGNE

- 8 janvier : PepGen a annoncé que nous avons vacciné avec succès la première personne de l'étude CONNECT1=EDO51. Apprenez-en davantage [ici](#).
 - Des données préliminaires sur l'innocuité, la production de l'exon 51 et de dystrophine sont attendues au milieu de 2024 pour la cohorte de 5 mg/kg.
- 4 mars : PepGen a annoncé l'approbation de notre Demande d'essai clinique (DEC) par l'Agence de réglementation des médicaments et des produits de santé du Royaume-Uni pour commencer l'essai clinique de phase 2 CONNECT2-EDO51, conçu pour soutenir l'approbation accélérée potentielle de PGN-EDO51 aux É-U pour le traitement de la maladie de Duchenne de Boulogne. Apprenez-en davantage [ici](#).
- 13 mars : PepGen a reçu les désignations de médicament orphelin et de maladie pédiatrique rare de la FDA des États-Unis pour PGN-EDO51 pour le traitement de la maladie de Duchenne de Boulogne. Apprenez-en davantage [ici](#).

MYOTONIQUE DYSTROPHIQUE DE TYPE 1

- 20 février : PepGen a reçu la désignation d'évolution rapide de la FDA des É-U pour PGN-EDODM1 afin de traiter la myotonique dystrophique de type 1. En savoir plus [ici](#).

CONNECT1-EDO51

L'essai clinique CONNECT1-EDO51 est une étude de recherche de phase 2 pour les personnes atteintes de la maladie de Duchenne de Boulogne. L'étude testera si un médicament expérimental, appelé PGN-EDO51, est sécuritaire et tolérable pour les garçons et les hommes avec cette maladie, se prêtant au saut d'exon 51. CONNECT1-EDO51 s'inscrit activement au Canada. Pour en savoir plus, visitez les sites Web suivants :

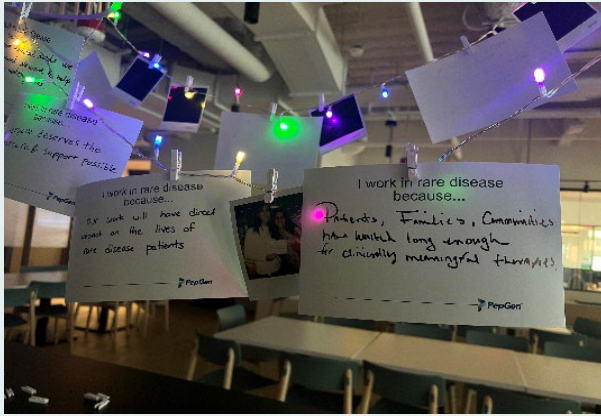
- [Site Web de l'étude Connect1](#)
- [Clinicaltrials.gov Listing](#)

FREEDOM-DM1

L'étude FREEDOM-DM1 est une étude de phase 1 qui examine si une dose unique du médicament expérimental, appelée PGN-EDODM1, est sécuritaire et tolérable pour les personnes atteintes de DM1 par rapport au placebo. FREEDOM-DM1 s'inscrit activement aux États-Unis et au Canada. De plus amples renseignements peuvent être obtenus en visitant les sites Web ci-dessous :

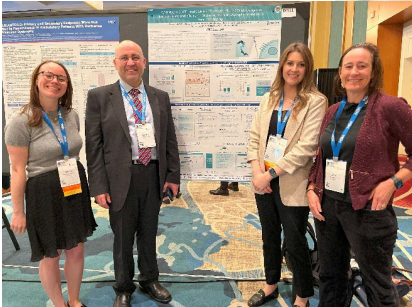
- [Site Web FREEDOM-DM1](#)
- [Clinicaltrials.gov Listing](#)

LE PLAIDOYER PEPGEN



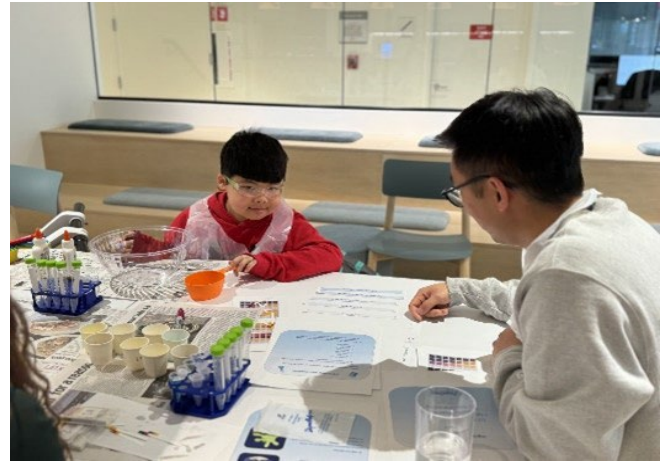
JOURNÉE DES MALADIES RARES

Le personnel s'est réuni à l'occasion de la Journée des maladies rares pour célébrer et honorer les personnes touchées par une maladie rare en organisant une soirée de surveillance du [webinaire](#) de la Fondation Jett sur la Journée des maladies rares. Nous avons également rempli et partagé des cartes décrivant pourquoi nous travaillons dans les maladies rares et ce que nous avons appris des communautés que nous servons. Découvrez l'éclairage PepGen pour Rare [ici!](#)



SAISON DES CONFÉRENCES 2024

PepGen a récemment assisté à la conférence 2024 de l'Association de la dystrophie musculaire où nous avons eu un présentoir et présenté des affiches sur PGN-EDODM1 et PGN-EDO51. PepGen a également assisté à la première d'une série de conférences régionales en six parties de la Fondation sur la Dystrophie myotique où nous avons eu une table et présenté sur PGN-EDODM1. Notre équipe a aimé se connecter avec la communauté des troubles neuromusculaires lors des deux réunions.



JOURNÉES SCIENTIFIQUES COMMUNAUTAIRES DE LA DMD

L'équipe de défense des patients a organisé notre première journée scientifique communautaire annuelle pour les familles vivant avec la DMD en janvier. Les activités du camp scientifique comprenaient une visite du laboratoire et des activités STIM avec nos collègues du personnel de PepGen. Nous avons hâte d'organiser d'autres séances à l'avenir.

Les versions précédentes de ce bulletin et leurs traductions sont disponibles sur pepgen.com/community

PATROCINIO PEPGEN - NEWSLETTER PRIMO TRIMESTREIO PEPGEN

NEWSLETTER TRIMESTRALE PER LE ORGANIZZAZIONI E LE COMUNITA' PER IL PATROCINIO DEL PAZIENTE IMPEGNATE CON PEPGEN

DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE

- 8 Gennaio: PepGen ha annunciato di avere somministrato con successo la prima persona nello studio CONNECT1-EDO51. Per maggiori informazioni cliccare [qui](#).
 - I dati preliminari sulla sicurezza, l'exon 51 skipping e la produzione di distrofina si attendono per la metà del 2024 per il campione di 5 mg/kg.
- 4 marzo: PepGen ha annunciato il via libera alla nostra Domanda Per Test Clinici (CTA) da parte della United Kingdom Medicines & Healthcare Products Regulatory Agency per iniziare CONNECT2-EDO51, uno studio clinico di Fase 2 progettato per supportare la possibile approvazione potenziale di PGN-EDO51 negli USA per il trattamento della Distrofia Muscolare di Duchenne. Per saperne di più cliccare [qui](#).
- 13 marzo: PepGen ha ricevuto la designazione da parte della FDA americana di Farmaco Orfano e Malattia Infantile Rara per PGN-EDO51 per il trattamento della Distrofia Muscolare di Duchenne. Leggi [qui](#).

DISTROFIA MIOTONICA DI TIPO 1

- 20 febbraio: PepGen ha ricevuto la designazione della FDA americana Fast Track per PGN-EDODM1 per il trattamento della Distrofia Muscolare di Tipo 1. Leggi [qui](#).

CONNECT1-EDO51

Lo studio clinico CONNECT1-EDO51 è una ricerca di Fase 2 per le persone che vivono con DMD. Lo studio testerà se un farmaco in prova chiamato PGN-EDO51 è sicuro e tollerabile per ragazzi e uomini con Duchenne, propenso a exon 51 skipping. CONNECT1-EDO51 sta cercando pazienti in Canada. Altre informazioni si possono trovare su:

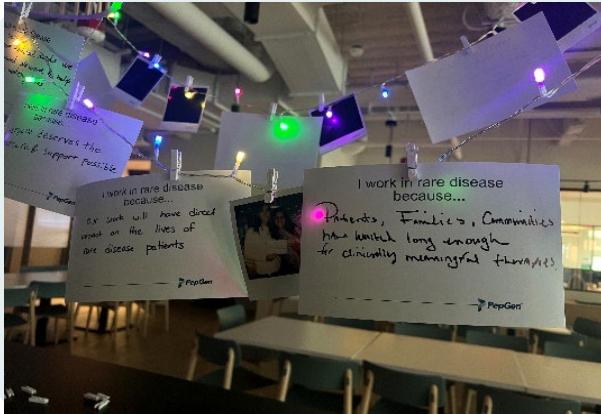
[.Connect1 Study Website](#)
[.Clinicaltrials.gov Listing](#)

FREEDOM-DM1

Lo studio clinico FREEDOM-DM1 è una ricerca di Fase 1 che sta studiando se una singola dose del farmaco in prova PGN-EDODM1 è sicura e tollerabile per individui con DM1 rispetto al placebo. FREEDOM-DM1 sta cercando pazienti in USA e Canada. Altre informazioni si possono trovare su:

[.FREEDOM-DM1 Website](#)
[.Clinicaltrials.gov Listing](#)

Q1 SOMMARIO PER LA COMUNITA'



GIORNATA DELLA MALATTIE RARE

Lo Staff si è riunito per celebrare e onorare coloro che sono affetti da malattia rara ospitando una festiciola per assistere al [webinar](#) della Jett Foundation Thriving With Duchenne. Abbiamo inoltre scritto e condiviso le nostre motivazioni per fare il lavoro che facciamo sulle malattie rare e che cosa abbiamo imparato dalle comunità con cui viviamo fianco a fianco. Puoi trovare tutto [qui!](#)



STAGIONE CONFERENZE 2024

PepGen è stata presente alla conferenza dell'Associazione Distrofia Muscolare 2024 con il nostro stand e con i poster di presentazione su PGN-EDODM1 e PGN-EDO51. PepGen è stata anche alla prima parte della conferenza regionale in sei parti della Fondazione Distrofia Miotonica dove abbiamo presentato al nostro tavolo PGN-EDODM1. La nostra squadra è stata molto felice di interagire con la comunità delle malattie neuromuscolari ad entrambi gli incontri.



GIORNATE DELLA SCIENZA

La squadra del Patrocinio del Paziente ha organizzato la nostra prima Giornata della Scienza annuale per le famiglie che convivono con DMD, lo scorso gennaio. Le attività del Campo Scientifico hanno incluso il giro del laboratorio e le attività STEM con il nostro staff PepGen. Non vediamo l'ora di organizzare altre sessioni in futuro!

Versioni precedenti di questa newsletter e le traduzioni sono disponibili su pepgen.com/community