



PEPGEN ADVOCACY 4TH QUARTER NEWSLETTER

A quarterly newsletter for the patient advocacy organizations and communities engaged with PepGen

DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY

- PepGen is pleased to announce that we have 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 5mg/kg cohort.
- PepGen also anticipates initiating CONNECT2-EDO51, a Phase 2, multinational, randomized, double-blind placebo-controlled multiple ascending dose (MAD) study in 2024.
- PepGen presented on our DMD program at Defeat Duchenne Canada's 2023 Family Forum Weekend, linked [here](#).
- To learn more about CONNECT1-EDO51 study, please visit our [clinicaltrials.gov](#) or email clinicaltrials@pepgen.com

MYOTONIC DYSTROPHY TYPE 1

- PepGen announced the first person dosed in the Phase 1, FREEDOM-DM1 clinical trial of PGN-EDODM1 for myotonic dystrophy type 1 (DM1) in December 2023.
 - FREEDOM-DM1 will enroll approximately 24 adults with DM1.
 - The primary objective of the study is to understand safety and tolerability of PGN-EDODM1 after a single dose.
 - PepGen will also look at the amount of drug in muscle, and measures of potential efficacy. Read more [here](#).
 - To learn more about FREEDOM-DM1, please visit [clinicaltrials.gov](#) or email clinicaltrials@pepgen.com
- PepGen received regulatory clearance to evaluate PGN-EDODM1 in people living with DM1 from the United Kingdom's Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA). FREEDOM-DM1 also received regulatory clearance in the US and Canada.



PATIENT ADVOCACY HIGHLIGHTS

DM1 HIGHLIGHT-



In November, PepGen had the privilege of meeting Jeannine, a community member and Myotonic Dystrophy Foundation Support Group Facilitator living with DM1. Jeannine told her story and shared her perspective on living with DM1 during a lunch and learn, leaving an incredible impact on our staff.



NEW YEAR, NEW COMMUNITY PAGE!

Visit PepGen's updated [website](#) and visit the [Community](#) page to see our new look and explore all things Patient Advocacy, including our Community Stories.



We wish you a bright 2024 and are excited to continue to partner with and learn from the neuromuscular disorder community.



HOLIDAY HIGHLIGHT-

The PepGen office had a special visitor this past holiday season! Our new office elf, affectionately named Peppy, joined us from the North Pole with her puppy Oligo, to spread holiday cheer and help the Patient Advocacy team this past month.



BORRADOR PARA EL BOLETÍN DE LA DEFENSA DEL PACIENTE DEL 4TO TRIMESTRE

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

DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE

- PepGen se complace en anunciar que hemos administrado la dosis con éxito al primer sujeto del estudio CONNECT 1-EDO51. Lea más [aquí](#)
oSe 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.
- En 2024, PepGen también prevé iniciar CONNECT2-EDO51, un estudio de fase 2, multinacional, doble ciego controlado con placebo de dosis múltiple ascendente (MAD).
- PepGen expuso una presentación sobre nuestro programa DMD en el Family Forum Weekend 2023 de Defeat Duchenne Canada. Encuéntrela [aquí](#).
- Para conocer más acerca del estudio CONNECT1-EDO51, visite nuestro [sitio web](#) o envíenos un correo electrónico a clinicaltrials@pepgen.com

DISTROFIA MIOTÓNICA TIPO 1

- PepGen anunció la administración de la primera dosis en un participante de FREEDOM-DM1, el ensayo clínico de fase 1 para la distrofia miotónica tipo 1 (DM1), en diciembre del 2023.
oEn FREEDOM-DM1 participarán aproximadamente 24 adultos con DM1.
oEl objetivo principal del estudio es analizar la seguridad y tolerabilidad de PGN-EDODM1 tras una dosis única.
oPepGen también estudiará la cantidad de fármaco en el músculo y medirá la eficacia potencial continúe leyendo [aquí](#)
oPara conocer más acerca de FREEDOM -DM1, visite nuestro [sitio web](#) o envíenos un correo electrónico a clinicaltrials@pepgen.com
- La Agencia Reguladora de Medicamentos y Productos Sanitarios (MHRA) del Reino Unido autorizó a PepGen a evaluar PGN-EDODM1. FREEDOM-DM1 también recibió la debida autorización en los Estados Unidos y Canadá.



INTERVENCIONES DESTACADAS DE PEPGEN

INTERVENCIÓN SOBRE DM1



En noviembre, PepGen tuvo el privilegio de conocer a Jeannine, una importante integrante de nuestra comunidad y facilitadora del grupo de apoyo de Myotonic Dystrophy Foundation que convive con la DM1. Jeannine nos contó su historia y compartió su experiencia como paciente con DM1 en una inspiradora jornada con almuerzo que marcó a todo nuestro personal.



¡NUEVO AÑO, NUEVO SITIO WEB!

Visite el sitio web actualizado de PepGen y la página de nuestra [Comunidad](#) para ver nuestra nueva imagen, aprender todo lo relacionado con la Defensa del Paciente y conocer las historias de nuestra comunidad.



NOVEDAD DE FIN DE AÑO

¡Este fin de año, la oficina de PepGen recibió una visita! Nuestro nuevo Elf, Peppy para los amigos, y su cachorro Oligo vinieron del Polo Norte para unirse a nuestra familia y así contagiar la alegría navideña y ayudar al equipo de Defensa del Paciente durante todo el mes pasado.



Les deseamos un fabuloso 2024 y aprovechamos esta oportunidad para expresar que nos complace seguir trabajando y aprendiendo junto a la comunidad de trastornos neuromusculares.



4E TRIMESTRE – BULLETIN D'INFORMATION LE PARRAINAGE DES PATIENTS

Un bulletin trimestriel pour les organisations de parrainage des patients et les communautés engagées avec PepGen

MALADIE DE DUCHENNE DE BOULOGNE

- PepGen a le plaisir d'annoncer que nous avons réussi à injecter d'une dose la première personne de l'étude CONNECT 1 – EDO51. Pour en savoir plus, [cliquez ici](#)
 - Nous attendons des données préliminaires sur la sécurité, le contour de l'exon 51 et la production de dystrophine au milieu de 2024 pour la cohorte de 5 mg/kg.
- PepGen prévoit également de lancer CONNECT2-EDO51, une étude multinationale de phase 2, randomisée, sans savoir qui recevra les doses contrôlées de placebo à doses multiples ascendantes (MAD) en 2024.
- PepGen a présenté notre programme DMD lors de la fin de semaine du Forum familial 2023 “Defeat Duchenne Canada”, retrouvé [ici](#).
- Pour en savoir plus sur l'étude CONNECT1-EDO51, veuillez visiter notre [site Web](#) ou envoyer un courriel à clinicaltrials@pepgen.com

MYOTONIQUE DYSTROPHIQUE DE TYPE 1

- PepGen a annoncé la première personne ayant reçu une dose de l'essai clinique FREEDOM-DM1 de la phase 1 de PGN-EDODM1 dans le traitement de la myotonie dystrophique de type 1 (DM1) en décembre 2023.
 - FREEDOM-DM1 inscrira environ 24 adultes avec DM1.
 - L'objectif principal de l'étude est de comprendre l'innocuité et la tolérabilité de PGN-EDOM1 après une dose unique.
 - PepGen examinera également la quantité de médicaments dans le muscle et les mesures de son efficacité potentielle. Pour en savoir plus, [cliquez ici](#).
 - Pour en savoir plus sur FREEDOM – DM1, veuillez visiter notre [site Web](#) ou envoyer un courriel à clinicaltrials@pepgen.com.
- PepGen a reçu l'autorisation réglementaire d'évaluer PGN-EDODM1 de la “Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA)” du Royaume-Uni. FREEDOM-DM1 a également reçu une autorisation réglementaire aux États-Unis et au Canada.



Faits saillants récents en matière de parrainage

FAITS SAILLANTS DM1



PepGen a eu le privilège de rencontrer Jeannine en novembre dernier, une personne membre de la communauté, et une facilitatrice du groupe de soutien de la Fondation sur la myotonie dystrophique vivant avec les contraintes de la DM1. Jeannine a raconté son histoire et partagé son point de vue sur la vie avec la DM1 lors d'un déjeuner-conférence, laissant un impact incroyable sur notre personnel.



NOUVELLE ANNÉE, NOUVELLE PAGE COMMUNAUTAIRE!

Visitez le site Web mis à jour de PepGen et notre page [Communautaire](#) pour voir notre nouveau look et explorer tout ce qui concerne la défense des patients, y compris nos histoires communautaires



FAITS SAILLANTS DES FÊTES

Le bureau de PepGen a reçu la visite de quelqu'un lors de cette dernière saison des fêtes! Notre nouvel Elfe au bureau, affectueusement nommé Peppy, nous a joint en provenance du pôle Nord avec son chiot Oligo, pour répandre la joie des fêtes et aider l'équipe de défense des patients le mois dernier.



Nous vous souhaitons une année 2024 des plus scintillante et nous sommes ravis de collaborer perpétuellement avec la communauté des maladies neuromusculaires et d'en apprendre davantage sur celles-ci.



NEWSLETTER DEL SOSTEGNO AL PAZIENTE DEL QUARTO TRIMESTRE

Newsletter trimestrali per le organizzazioni e le community che collaborano con PepGen

DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE

- PepGen ha il piacere di annunciare di aver somministrato con successo il primo paziente nello studio CONNECT 1-EDO51. E' possibile saperne di più [qui](#) o i dati preliminary sulla sicurezza, exon 51 e la produzione di distrofina sono attesi per la metà del 2024, per il campione di 5mg/kg
- PepGen si aspetta inoltre di partire con CONNECT2-EDO51 nel 2024, uno studio di Fase 2, multinazionale, randomizzato, doppio cieco con placebo e con dosi multiple crescenti (MAD).
- PepGen ha presentato il programma DMD al Defeat Duchenne Family Forum Weekend nel 2023, in Canada, visitabile [qui](#).
- Per saperne di più dello studio CONNECT1-EDO51, si prega di visitare il nostro [sito](#) o contattarci all'email clinicaltrials@pepgen.com

DISTROFIA MIOTONICA DI TIPO 1

- PepGen ha annunciato nel dicembre 2023 la prima dose somministrata in Fase 1 della sperimentazione clinica FREEDOM-DM1 di PGN-EDODM1, per il tipo 1 di distrofia miotonica (DM1)
 - FREEDOM-DM1 coinvolgerà approssimativamente 24 adulti con DM1
 - L'obiettivo primario dello studio è di capire la sicurezza e la tollerabilità di PGN-EDODM1 dopo una singola dose.
 - PepGen misurerà inoltre la quantità del farmaco nel muscolo, e le potenziali efficacie. E' possibile saperne di più [qui](#)
 - Per sapere di più su FREEDOM -DM1, visitare il nostro [sito](#) o contattateci all'email clinicaltrials@pepgen.com
- PepGen ha ricevuto le autorizzazioni regolamentari per valutare PGN-EDODM1 dalla Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA) del Regno Unito. FREEDOM-DM1 ha inoltre ricevuto le dovute autorizzazioni in USA e Canada.



SOMMARIO DEL SOSTEGNO AL PAZIENTE

MOMENTI SALIENTI DM1



A Novembre, PepGen ha avuto il privilegio di incontrare Jeannine, membro della comunità e del Gruppo di Supporto della Myotonic Dystrophy Foundation, che vive con DM1. Jeannine ha raccontato la sua storia e la sua esperienza con DM1 durante un incontro a pranzo, lasciando un impatto indelebile sul nostro staff.



NUOVO ANNO, NUOVA PAGINA DELLA COMMUNITY!

Per saperne di più sul Sostegno al Paziente e sulle nostre novità, visitate il nostro nuovo sito e la [Community](#), ove potete anche trovare le nostre Community Stories.



Vi auguriamo uno splendido 2024 e siamo entusiasti di continuare la nostra partnership e il nostro apprendimento dalla community delle malattie neuromuscolari.



MOMENTI SALIENTI DEL PERIODO NATALIZIO

L'ufficio di PepGen ha avuto un visitatore durante le vacanze! Il nuovo Elfo, chiamato affettuosamente Peppy, si è unito a noi dal Polo Nord con il suo cucciolo, Oligo, per diffondere lo spirito del Natale e aiutare la nostra squadra del Sostegno al Paziente per tutto il mese.