



PEPGEN'S 2024 MID-YEAR ADVOCACY UPDATE

DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY

CONNECT1-EDO51



In July 2024, [PepGen reported clinical data](#) from the 5 mg/kg PGN-EDO51 dose cohort of CONNECT1-EDO51, including safety, exon 51 skipping, and dystrophin production data. CONNECT1-EDO51 is a Phase 2, open-label, multiple ascending dose (MAD) clinical trial, being conducted in Canada, evaluating safety and tolerability of PGN-EDO51 in approximately 10 people at least 8 years old, with DMD amenable to exon 51 skipping. **At the 5 mg/kg dose:**

- PGN-EDO51 was well tolerated by all study cohort participants through week 13
- Mean exon skipping in biceps was 2.15% greater at week 13 compared to baseline
- Mean muscle-adjusted dystrophin level was 1.49% of that of unaffected individuals, 0.70% increase after 4 doses, measured at week 13
- Mean absolute dystrophin level was 0.61% of that of unaffected individuals, 0.26% increase, after 4 doses, measured at week 13

CONNECT1-EDO51 is actively enrolling in Canada. Visit the [CONNECT1 study website](#) and [Clinicaltrials.gov](#)

CONNECT2-EDO51



CONNECT2-EDO51 is a multinational, placebo-controlled Phase 2 clinical trial for people who are living with DMD amenable to exon 51 skipping. The placebo-controlled study will study safety and tolerability, as well as levels of dystrophin in skeletal muscle, following monthly intravenous doses of PGN-EDO51 administered to participants with Duchenne muscular dystrophy (DMD) amenable to exon 51 skipping.

CONNECT2-EDO51 is open in the [United Kingdom](#). The Company continues to engage with regulators in the European Union and expects to open the clinical trial in the United States by year-end, subject to regulatory clearance.

MYOTONIC DYSTROPHY TYPE 1

FREEDOM-DM1



The FREEDOM-DM1 study is a Phase 1 study that is exploring whether a single dose of the investigational drug, PGN-EDODM1, is safe and tolerable for people with DM1 compared to placebo. PepGen anticipates reporting clinical results from the at least the first cohort of the FREEDOM clinical trial, including safety, splicing correction, and functional outcome measures in Q4 of 2024.

FREEDOM-DM1 is actively enrolling 24 adults living with DM1 in the United States, Canada, and the United Kingdom. Visit the [FREEDOM-DM1 study website](#) and [Clinicaltrials.gov](#)

FREEDOM2-DM1



On August 8, [PepGen announced](#) that both Health Canada and the United Kingdom Medicines and Healthcare products Regulatory Agency have cleared the Company's clinical trial application submissions for the FREEDOM2 trial, and PepGen expects to initiate participant dosing in the second half of 2024.

FREEDOM2 is a Phase 2 randomized, double-blind, placebo-controlled, multiple ascending dose clinical study evaluating PGN-EDODM1 in approximately 24 adults living with DM1 in Canada, the United Kingdom, and in the United States, subject to regulatory clearance.



PATIENT ADVOCACY HIGHLIGHTS



WALK TO DEFEAT DUCHENNE

On May 22nd, PepGen Pioneers participated in Defeat Duchenne Canada's Annual Walk to Defeat Duchenne. Our staff met to honor the DMD community and took a lap around our office neighborhood in support of the efforts that Defeat Duchenne Canada make every day for those living with DMD.



Cure Duchenne FUTURES Annual Meeting

Our Director of Patient Advocacy, Alayna Tress, along with our Medical Director, Bassem Morcos recently attended the 2024 Cure Duchenne FUTURES Conference. Our team made connections both at our booth and during informative sessions throughout the conference discussing hot topics such as access, treatment options, and ways to incorporate more diversity within a busy clinical trial landscape. PepGen also participated in an industry [panel on exon skipping](#).



MDF Regional Conference Series

This past spring, Alayna Tress, Director of Patient Advocacy, Jenny Shoskes, Associate Director of Clinical Development, and Jane Larkindale, VP of Clinical Science traveled nationwide to the Myotonic Dystrophy Foundation's first ever Regional Conference Series. Our team members enjoyed interacting with DM1 community members all over the country and attending informative sessions as well as hosting our booth and presenting information on PGN-EDODM1 to the community.

PPMD's 30th Annual Meeting

Our Director of Patient Advocacy, Alayna Tress, and our Medical Director, Bassem Morcos, also attended PPMD's 30th Annual Meeting at the end of June. Our team had insightful conversations with DMD community members both at our booth and during a panel with other industry partners. In these conversations, PepGen discussed crucial topics such as Diversity & Inclusion, and how we can represent the DMD community members more broadly as we continue to enroll our clinical trials. Community members also provided valuable input on what is most important to them as they navigate their journeys with DMD with their families and support teams. PepGen was appreciative for the opportunity to participate in the ["Research Row" panel](#).

DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE

CONNECT1-EDO51



En julio de 2024, [PepGen informó datos clínicos](#) de la cohorte de la dosis de PGN-EDO51 de 5 mg/kg de CONNECT1-EDO51, que incluyó datos de seguridad, salto del exón 51 y la producción de distrofina. CONNECT1-EDO51 es un ensayo clínico de fase 2, de etiqueta abierta, de dosis múltiple ascendente (MAD), que se realiza en Canadá, y evalúa la seguridad y tolerabilidad de PGN-EDO51 en aproximadamente 10 personas de al menos 8 años de edad, con distrofia muscular de Duchenne (DMD) susceptible al salto del exón 51. **Con la dosis de 5 mg/kg:**

- Todos los participantes de la cohorte del estudio toleraron bien el PGN-EDO51 hasta la semana 13
- El nivel medio de distrofina ajustado al músculo fue del 1,49 % del nivel de los individuos no afectados, con un aumento del 0,70 % después de 4 dosis, medido en la semana 13
- El salto media del exón en el bíceps fue un 2,15 % mayor en la semana 13 en comparación con el valor inicial
- El nivel absoluto medio de distrofina fue del 0,61 % del nivel de los individuos no afectados, con un aumento del 0,26 % después de 4 dosis, medido en la semana 13

CONNECT1-EDO51 acepta inscripciones activamente en Canadá. Visite el [sitio web del estudio CONNECT1](#) y [Clinicaltrials.gov](#)

CONNECT2-EDO51



CONNECT2-EDO51 es un ensayo clínico multinacional de fase 2, controlado por placebo para las personas que viven con DMD susceptible al salto del exón 51. El estudio controlado por placebo analizará la seguridad y tolerabilidad, así como los niveles de distrofina en el músculo esquelético, después de dosis mensuales intravenosas de PGN-EDO51 administradas a los participantes con distrofia muscular de Duchenne (DMD) susceptible al salto del exón 51.

CONNECT2-EDO51 está abierto en el [Reino Unido](#). La empresa sigue interactuando con los reguladores en la Unión Europea y espera abrir el ensayo clínico en los Estados Unidos antes de fin de año, sujeto a aprobación regulatoria.

DISTROFIA MIOTÓNICA TIPO 1

FREEDOM-DM1



El estudio FREEDOM-DM1 es un estudio de fase 1 que explora si una dosis única del fármaco en investigación, PGN-EDODM1, es segura y tolerable para las personas con DM1 en comparación con el placebo. PepGen anticipa informar resultados clínicos de al menos la primera cohorte del ensayo clínico FREEDOM, que incluyan la seguridad, la corrección del empalme y medidas de resultados funcionales en el T4 de 2024.

FREEDOM-DM1 inscribe activamente a 24 adultos que viven con DM1 en los Estados Unidos, Canadá y el Reino Unido. Visite el [sitio web del estudio FREEDOM-DM1](#) y [Clinicaltrials.gov](#)

FREEDOM2-DM1



El 8 de agosto, [PepGen anunció](#) que Health Canada y la Agencia Regulatoria de Medicamentos y Productos de Atención Médica del Reino Unido aprobaron las solicitudes de ensayos clínicos de la empresa para el ensayo FREEDOM2, y PepGen espera iniciar la administración a los participantes en la segunda mitad de 2024.

FREEDOM2 es un estudio clínico de fase 2, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo, de dosis ascendentes múltiples que evalúa PGN-EDODM1 en aproximadamente 24 adultos que viven con DM1 en Canadá, el Reino Unido y los Estados Unidos, sujeto a la autorización regulatoria.



ASPECTOS DESTACADOS DE LA DEFENSA DE PACIENTES



CAMINATA PARA VENCER A DUCHENNE

El 22 de mayo, los pioneros de PepGen participaron en la caminata anual para derrotar a Duchenne de Defeat Duchenne Canada. Nuestro personal se reunió para honrar a la comunidad con DMD y recorrió nuestro vecindario de oficinas en apoyo de los esfuerzos que Defeat Duchenne Canada realiza todos los días para las personas que viven con DMD.



Reunión anual de Cure Duchenne FUTURES

Nuestra directora de Defensa de Pacientes, Alayna Tress, junto con nuestro director médico, Bassem Morcos recientemente asistieron a la Conferencia de 2024 Cure Duchenne FUTURES. Nuestro equipo estableció vínculos en nuestro puesto y durante las sesiones informativas en la conferencia y analizó temas importantes como el acceso, las opciones de tratamiento y las formas de incorporar más diversidad en un paisaje intenso de estudios clínicos. PepGen también participó en un panel de la [industria sobre el salto del exón](#).



Serie de conferencias regionales de MDF

La primavera pasada, Alayna Tress, directora de Defensa de Pacientes, Jenny Shoskes, directora asociada de Desarrollo Clínico, y Jane Larkindale, vicepresidenta de Ciencias Clínicas viajaron por todo el país para asistir a la primera serie de conferencias regionales de la Fundación de Distrofia Miotónica. Los miembros de nuestro equipo disfrutaron al interactuar con miembros de la comunidad de DM1 en todo el país y asistieron a sesiones informativas, además de organizar nuestro puesto y presentar información sobre PGN-EDODM1 a la comunidad.

30.º reunión anual de PPMD

Nuestra directora de Defensa de Pacientes, Alayna Tress, y nuestro director médico, Bassem Morcos, también asistieron a la 30.º Reunión Anual de PPMD a fines de junio. Nuestro equipo mantuvo conversaciones enriquecedoras con miembros de la comunidad de DMD tanto en nuestro puesto como durante un panel con otros socios de la industria. En estas conversaciones, PepGen analizó temas esenciales como la diversidad y la inclusión, y cómo podemos representar a los miembros de la comunidad de DMD de manera más amplia a medida que continuamos la inscripción en nuestros ensayos clínicos. Los miembros de la comunidad también brindaron información valiosa sobre lo que es más importante para ellos a medida que transitan su viaje con DMD con sus familias y equipos de apoyo. PepGen agradece la oportunidad de participar en el [panel de "Fila de Investigación"](#).



DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE

CONNECT1-EDO51



Nel luglio 2024, [PepGen ha riferito i dati clinici](#) derivati dalla coorte trattata con PGN-EDO51 alla dose di 5 mg/kg nello studio CONNECT1-EDO51, inclusi i dati relativi a sicurezza, skipping dell'esone 51 e produzione di distrofina. CONNECT1-EDO51 è uno studio clinico di fase 2, in aperto, a dose multipla ascendente (*Multiple Ascending Dose, MAD*), condotto in Canada, per valutare la sicurezza e la tollerabilità di PGN-EDO51 in circa 10 persone di almeno 8 anni di età con distrofia muscolare di Duchenne (DMD) trattabile con lo skipping dell'esone 51. **Alla dose di 5 mg/kg:**

- PGN-EDO51 è stato ben tollerato da tutti i partecipanti alla coorte dello studio fino alla settimana 13 compresa
- Il livello medio di distrofina aggiustato per il contenuto muscolare era l'1,49% di quello degli individui non affetti, con un aumento dello 0,70% dopo 4 dosi, misurato alla settimana 13
- Lo skipping dell'esone medio nel bicipite è risultato del 2,15% maggiore alla settimana 13 rispetto al basale
- Il livello medio assoluto di distrofina era lo 0,61% di quello degli individui non affetti, con un aumento dello 0,26% dopo 4 dosi, misurato alla settimana 13

CONNECT1-EDO51 sta arruolando attivamente pazienti in Canada. Visitare il [sito web dello studio CONNECT1](#) e il sito [Clinicaltrials.gov](#)

CONNECT2-EDO51



CONNECT2-EDO51 è uno studio clinico di fase 2, multinazionale, controllato con placebo, rivolto alle persone che convivono con la DMD trattabile con lo skipping dell'esone 51. Lo studio controllato con placebo valuterà la sicurezza e la tollerabilità, nonché i livelli di distrofina nel muscolo scheletrico, dopo la somministrazione di dosi endovenose mensili di PGN-EDO51 a partecipanti con distrofia muscolare di Duchenne (DMD) trattabile con lo skipping dell'esone 51.

CONNECT2-EDO51 è avviato nel [Regno Unito](#). La Società continua a dialogare con le autorità regolatorie nell'Unione europea e prevede di avviare lo studio clinico negli Stati Uniti entro fine anno, fatta salva l'approvazione normativa.

DISTROFIA MIOTONICA DI TIPO 1 (DM1)

FREEDOM-DM1



Lo studio FREEDOM-DM1 è uno studio di fase 1 che valuta la sicurezza e la tollerabilità di una dose singola del farmaco sperimentale PGN-EDODM1 nelle persone con DM1, rispetto al placebo. PepGen prevede di rendere noti i risultati clinici almeno della prima coorte dello studio clinico FREEDOM, incluse le misure relative a sicurezza, correzione dello splicing ed esiti funzionali, nel 4° trimestre del 2024.

FREEDOM-DM1 sta arruolando attivamente 24 adulti che convivono con la DM1 negli Stati Uniti, in Canada e nel Regno Unito. Visitare il [sito web dello studio FREEDOM-DM1](#) e il sito [Clinicaltrials.gov](#)

FREEDOM2-DM1



L'8 agosto, [PepGen ha annunciato](#) che Health Canada e l'agenzia regolatoria dei medicinali e dei prodotti sanitari del Regno Unito hanno approvato la domanda di autorizzazione alla sperimentazione clinica della Società per lo studio FREEDOM2; PepGen prevede di iniziare la somministrazione ai partecipanti nel secondo semestre del 2024.

FREEDOM2 è uno studio clinico di fase 2 randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, a dose multipla ascendente, per valutare PGN-EDODM1 in circa 24 adulti che convivono con la DM1 in Canada, nel Regno Unito e negli Stati Uniti, fatta salva l'approvazione normativa.



PUNTI SALIENTI DELLE ATTIVITÀ DI PATIENT ADVOCACY



UNA CAMMINATA PER SCONFIGGERE LA DISTROFIA DI DUCHENNE

Il 22 maggio, i PepGen Pioneers hanno partecipato alla camminata annuale per sconfiggere la distrofia di Duchenne, promossa dall'associazione Defeat Duchenne Canada. Il nostro staff si è riunito per rendere omaggio alla comunità DMD, con un giro nel quartiere in cui hanno sede i nostri uffici per sostenere gli sforzi che Defeat Duchenne Canada compie quotidianamente per le persone che convivono con la DMD.



Incontro annuale di Cure Duchenne FUTURES

La nostra Director of Patient Advocacy, Alayna Tress, insieme al Medical Director, Bassem Morcos, ha recentemente partecipato all'edizione 2024 della conferenza di Cure Duchenne FUTURES. Il team ha stretto contatti sia presso il nostro stand sia durante le sessioni informative che si sono svolte nel corso della conferenza, discutendo di temi caldi come l'accesso, le opzioni di trattamento e i modi per incorporare una maggiore diversità nel contesto di un fitto panorama di studi clinici. PepGen ha partecipato inoltre a un panel [di settore sullo skipping dell'esone](#).



Serie di conferenze regionali della MDF

La scorsa primavera Alayna Tress, Director of Patient Advocacy, Jenny Shoskes, Associate Director of Clinical Development, e Jane Larkindale, VP of Clinical Science, hanno girato il Paese per partecipare alla prima serie di conferenze regionali della Myotonic Dystrophy Foundation. Il nostro team ha potuto interagire con i membri della comunità DM1 in tutto il territorio nazionale e partecipare a sessioni informative, oltre ad accogliere i visitatori presso il nostro stand e a illustrare PGN-EDODM1 alla comunità.

30° incontro annuale della PPMO

La nostra Director of Patient Advocacy, Alayna Tress, insieme al Medical Director, Bassem Morcos, hanno partecipato anche al 30° incontro annuale della PPMO, tenutosi a fine giugno. Il dialogo tra il nostro team e i membri della comunità DMD, sia presso il nostro stand sia durante un panel con altri partner di settore, è stato denso di spunti interessanti. In queste occasioni, PepGen ha trattato argomenti cruciali, quali diversità e inclusione e come rappresentare in modo più ampio i membri della comunità DMD nell'arruolamento per i nostri studi clinici. I membri della comunità hanno fornito anche un contributo prezioso sugli aspetti più importanti nel loro percorso con la DMD con le rispettive famiglie e i team di sostegno. PepGen è stata grata dell'opportunità di partecipare al [panel "Research Row"](#).

DYSTROPHIE MUSCULAIRE DE DUCHENNE

CONNECT1-EDO51



En juillet 2024, [PepGen a publié les données cliniques](#) de la cohorte de dose de 5 mg/kg de PGN-EDO51 de l'étude CONNECT1-EDO51, incluant des données relatives à la sécurité, au saut de l'exon 51 et à la synthèse de dystrophine. CONNECT1-EDO51 est une étude de phase II en ouvert, à doses croissantes répétées, menée au Canada, qui vise à évaluer la sécurité et la tolérance du PGN-EDO51 chez environ 10 patients âgés d'au moins 8 ans atteints de DMD relevant de la technique du saut de l'exon 51. **À la dose de 5 mg/kg dose :**

- Le PGN-EDO51 a été bien toléré par tous les patients de la cohorte de l'étude jusqu'à la semaine 13.
- À la semaine 13, le taux moyen de saut d'exon dans le biceps était supérieur de 2,15 % par rapport à la valeur initiale.
- Le taux moyen de dystrophine après ajustement pour la teneur musculaire mesuré à la semaine 13 était de 1,49 % de celui observé chez des sujets sains, avec une augmentation de 0,70 % après quatre doses.
- Le taux absolu moyen de dystrophine après ajustement pour la teneur musculaire mesuré à la semaine 13 était de 0,61 % de celui observé chez des sujets sains, avec une augmentation de 0,26 % après quatre doses.

Le recrutement pour l'étude CONNECT1-EDO51 est ouvert au Canada. Consulter le site Internet de [l'étude CONNECT1](#) et [Clinicaltrials.gov](#).

CONNECT2-EDO51



CONNECT2-EDO51 est une étude clinique de phase II internationale contrôlée contre placebo destinée aux patients atteints de DMD relevant de la technique du saut de l'exon 51. L'étude contrôlée contre placebo vise à évaluer la sécurité et la tolérance, ainsi que les taux de dystrophine dans les muscles squelettiques, après administration de doses mensuelles de PGN-EDO51 par voie intraveineuse à des patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) relevant de la technique du saut de l'exon 51.

L'étude CONNECT2-EDO51 est ouverte au [Royaume-Uni](#). La société continue à discuter avec les autorités compétentes dans l'Union européenne et prévoit d'ouvrir l'étude clinique aux États-Unis à la fin de l'année, sous réserve de l'autorisation réglementaire.

DYSTROPHIE MYOTONIQUE DE TYPE 1

FREEDOM-DM1



L'étude FREEDOM-DM1 est une étude phase I visant à déterminer si une dose unique du médicament expérimental, le PGN-EDODM1, est sûre et tolérable chez les patients atteints de dystrophie myotonique de type 1 (DM1) par rapport à un placebo. PepGen prévoit de publier au 4^e trimestre 2024 les résultats cliniques de la première cohorte de l'étude FREEDOM au moins, incluant les données relatives à la sécurité, à la correction de l'épissage et aux mesures fonctionnelles.

Le recrutement de 24 adultes atteints de DM1 pour l'étude FREEDOM-DM1 est ouvert aux États-Unis, au Canada et au Royaume-Uni. Consulter le [site Internet de l'étude FREEDOM-DM1](#) et [Clinicaltrials.gov](#).

FREEDOM2-DM1



Le 8 août, [PepGen a annoncé](#) que Santé Canada et la Medicines and Healthcare products Regulatory Agency du Royaume-Uni ont rendu un avis favorable sur les demandes d'autorisation d'essai clinique pour l'étude FREEDOM2, et PepGen prévoit que le traitement des participants débute au 2^e semestre 2024.

FREEDOM2 est une étude clinique de phase II randomisée en double aveugle, contrôlée contre placebo, à doses croissantes répétées, visant à évaluer le PGN-EDODM1 chez environ 24 adultes atteints de DM1 au Canada et au Royaume-Uni, ainsi qu'aux États-Unis sous réserve de l'autorité réglementaire.



FAITS SAILLANTS DU DÉPARTEMENT DE SOUTIEN AUX PATIENTS



LA MARCHÉ POUR METTRE FIN À LA DYSTROPHIE MUSCULAIRE DE DUCHENNE

Le 22 mai, les pionniers de PepGen ont participé à la marche annuelle pour mettre fin à la dystrophie musculaire de Duchenne de l'association Vaincre Duchenne Canada. Notre personnel s'est réuni pour rendre hommage à la communauté DMD et a fait une promenade dans le quartier de nos bureaux en soutien des efforts que fait chaque jour Vaincre Duchenne Canada pour les personnes qui vivent avec la DMD.



Conférence annuelle Cure Duchenne FUTURES

Notre Directrice du département de soutien aux patients, Alayna Tress, ainsi que notre Directeur médical, Bassem Morcos, étaient présents récemment à la conférence 2024 Cure Duchenne FUTURES. Notre équipe a noué des contacts à la fois sur notre stand et pendant les sessions d'information durant toute la conférence, en parlant de sujets cruciaux tels que l'accès au traitement, les options thérapeutiques et les moyens d'intégrer plus de diversité dans un environnement d'études cliniques animé. PepGen a également participé à un panel [de l'industrie sur le saut d'exon](#).



Série de conférences régionales de la MDF

Au printemps dernier, Alayna Tress, Directrice du département Soutien aux patients, Jenny Shoskes, Directrice adjointe du département Développement clinique et Jane Larkindale, Vice-présidente du département Science clinique se sont déplacées dans tout le Royaume-Uni pour assister à la toute première série de conférences régionales de la Myotonic Dystrophy Foundation. Les membres de notre équipe ont apprécié de pouvoir interagir avec les membres de la communauté DM1 dans tout le pays et d'assister à des sessions d'information, ainsi que d'accueillir les membres de la communauté sur notre stand et de leur présenter des informations sur le PGN-EDODM1.

30^e congrès annuel de la PPMD

Notre Directrice du département Soutien aux patients, Alayna Tress, et notre Directeur médical, Bassem Morcos, ont également assisté au 30^e congrès annuel de l'association Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD) fin juin. Notre équipe a eu des conversations instructives avec les membres de la communauté DMD, tant sur notre stand que dans le cadre d'un panel avec d'autres partenaires de l'industrie. Au cours de ces conversations, PepGen a discuté de sujets cruciaux tels que diversité et inclusion, et de la façon dont nous pouvons représenter plus largement les membres de la communauté DMD au fur et à mesure que nous continuons à recruter pour nos études cliniques. Les membres de la communauté ont également donné des avis précieux sur les éléments les plus importants pour eux au fur et à mesure qu'ils avancent avec leur famille et leurs aidants dans leur parcours avec la DMD. PepGen a apprécié d'avoir eu l'occasion de participer au [panel « Research Row »](#).