

## Studi clinici

PepGen si impegna a cambiare la vita delle persone affette da patologie neuromuscolari e neurologiche. Conduciamo i nostri studi clinici mettendo in primo piano la sicurezza e il benessere dei partecipanti. Lavoriamo al fianco delle persone che convivono con queste patologie, con i loro caregiver, i gruppi di advocacy, i medici, le autorità regolatorie e gli esperti del settore. In PepGen apprezziamo il tempo e gli sforzi dedicati agli studi clinici non solo dai partecipanti, ma anche dai loro cari, e siamo loro grati per il sostegno offerto alla nostra missione.

Di seguito sono riportati i nostri studi clinici attivi:

### Distrofia muscolare di Duchenne (DMD)



#### **CONNECT1-EDO51**

**6-16 anni di età**

Titolo ufficiale: studio di fase 2, in aperto, a dose multipla ascendente di PGN-EDO51, con estensione a lungo termine, in partecipanti con distrofia muscolare di Duchenne trattabile con lo skipping dell'esone 51 (CONNECT1-EDO51)

Sintesi: lo scopo principale del periodo con dose multipla ascendente (MAD) è valutare la sicurezza e la tollerabilità di dosi multiple ascendenti di PGN-EDO51, per via endovenosa (EV), somministrate a partecipanti con distrofia muscolare di Duchenne (DMD). Lo scopo principale del periodo di estensione a lungo termine (LTE) è valutare la sicurezza e la tollerabilità a lungo termine di PGN-EDO51 in partecipanti che hanno completato il periodo MAD. Lo studio è costituito da 3 periodi: un periodo di screening (fino a 45 giorni), un periodo di trattamento e osservazione (16 settimane) e un periodo di estensione (108 settimane).

Requisiti:

- Sesso maschile alla nascita e età 6-16 anni
- Diagnosi di distrofia muscolare di Duchenne trattabile con lo skipping dell'esone 51 (per la partecipazione saranno richiesti test genetici)
- Peso di almeno 18 kg/40 libbre
- Disponibilità a sottoporsi a un totale di due biopsie muscolari a cielo aperto (per il prelievo di campioni di tessuto muscolare)

*Nota: sono previsti altri requisiti per lo studio*



## CONNECT2-EDO51

○ **temporaneamente sospeso**

**6-16 anni di età oltre**

**Titolo ufficiale:** studio di fase 2, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, a dose multipla ascendente di PGN-EDO51, con estensione a lungo termine, in partecipanti con distrofia muscolare di Duchenne trattabile con lo skipping dell'esone 51 (CONNECT2-EDO51)

**Sintesi:** lo scopo principale del periodo con dose multipla ascendente (MAD) è valutare 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. Il periodo MAD è in doppio cieco, controllato con placebo, e i pazienti saranno assegnati in modo casuale, in rapporto 3:1, a ricevere il medicinale attivo PGN-EDO51 o il placebo. Il placebo ha lo stesso aspetto di PGN-EDO51 ma non contiene medicinale attivo. Il periodo MAD è seguito da un periodo di estensione in aperto, nel quale i pazienti che hanno completato il periodo MAD riceveranno il medicinale attivo PGN-EDO51, indipendentemente dall'assegnazione precedente.

Nel complesso, lo studio è costituito da un periodo di screening (fino a 45 giorni) e un periodo MAD (28 settimane), seguiti dal periodo di estensione in aperto (108 settimane).

### Requisiti:

- Sesso maschile alla nascita e almeno 6 anni di età
- Diagnosi di distrofia muscolare di Duchenne trattabile con lo skipping dell'esone 51 (per la partecipazione saranno richiesti test genetici)
- Peso di almeno 25 kg/55 libbre
- Disponibilità a sottoporsi a un totale di due biopsie muscolari a cielo aperto (per il prelievo di campioni di tessuto muscolare)

*Nota: sono previsti altri requisiti per lo studio*

## Distrofia miotonica di tipo 1 (DM1)



### **FREEDOM-DM1**

● **In fase di arruolamento**  
**18-50 anni di età**

Titolo ufficiale: studio di fase 1 controllato con placebo, volto a valutare la sicurezza, la tollerabilità, la farmacocinetica e la farmacodinamica di dosi singole ascendenti di PGN-EDODM1 in partecipanti adulti con distrofia miotonica di tipo 1 (FREEDOM-DM1)

Sintesi: lo scopo principale dello studio è valutare la sicurezza e la tollerabilità di dosi singole di PGN-EDODM1, per via endovenosa (EV), somministrate a partecipanti con distrofia miotonica di tipo 1 (DM1). Lo studio è costituito da 2 periodi: un periodo di screening (fino a 30 giorni) e un periodo di trattamento e osservazione (16 settimane).

Requisiti:

- Età 18-50 anni
- Diagnosi di DM1
- Disponibilità a sottoporsi a un totale di 3 agobiopsie muscolari (per il prelievo di un campione di tessuto della gamba), nell'arco di diversi mesi.

*Nota: possono essere previsti altri criteri di inclusione ed esclusione*

Per maggiori informazioni [cliccare qui](#) o visitare il sito [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov)  
(NCT06204809)



### **FREEDOM2-DM1**

● **In fase di arruolamento**  
**Età 16-60 anni**

Titolo ufficiale: studio di fase 2 randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, con dosi multiple ascendenti di PGN-EDODM1 in partecipanti adulti con distrofia miotonica di tipo 1 (FREEDOM2-DM1)

Sintesi: lo scopo principale di questo studio è valutare la sicurezza e la tollerabilità di dosi multiple di PGN-EDODM1, per via endovenosa (EV), somministrate a partecipanti con distrofia miotonica di tipo 1. Lo studio è costituito da un periodo di screening di un massimo di 45 giorni e un periodo di trattamento di 12 settimane.

Requisiti:

- Età 16-60 anni
- Diagnosi di DM1
- Disponibilità a sottoporsi a un totale di 2 agobiopsie muscolari (per il prelievo di un campione di tessuto della gamba), nell'arco di diversi mesi.

*Nota: possono essere previsti altri criteri di inclusione ed esclusione*

**Per maggiori informazioni [cliccare qui](#) o visitare il sito [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov) (NCT06667453)**

### **Accesso allargato:**

PepGen sta sviluppando oligonucleotidi a trasferimento potenziato (*Enhanced Delivery Oligonucleotides*, EDO) per il possibile trattamento di patologie neuromuscolari. Stiamo conducendo studi clinici per valutare il potenziale dei nostri EDO sperimentali. Questi studi clinici prevedono criteri di inclusione ed esclusione specifici, concepiti per interpretare al meglio i dati in questa prima fase dello sviluppo. I dati generati da tali studi potranno consentire a PepGen di richiedere in futuro le necessarie autorizzazioni all'immissione in commercio presso agenzie regolatorie, come la Food and Drug Administration (FDA) statunitense e l'Agenzia europea per i medicinali (EMA).

Quando una persona non è in grado di partecipare a uno studio clinico, una serie di criteri specifici può consentirle di avere accesso al farmaco sperimentale. Spesso si parla in questi casi di programmi di accesso allargato (*Expanded Access Programs*, EAP), uso compassionevole o accesso anticipato. Per essere idonea, la persona deve avere una malattia o condizione grave o che rappresenta un immediato pericolo per la vita, non deve essere disponibile per la persona una terapia paragonabile o soddisfacente e i potenziali benefici devono giustificare i potenziali rischi del trattamento. In questa situazione, il medico della persona può richiedere l'accesso a terapie sperimentali al di fuori del contesto degli studi clinici.

Attualmente PepGen non offre accesso allargato ai propri EDO sperimentali al di fuori degli studi clinici, poiché l'azienda sta ancora acquisendo i dati preclinici e clinici necessari per comprenderne meglio i rischi e i potenziali benefici. Di conseguenza, l'accesso ai nostri EDO sperimentali è disponibile solo attraverso la partecipazione a studi clinici. Nel proseguire lo sviluppo dei nostri EDO, l'obiettivo è offrire accesso a queste terapie al momento opportuno e tenendo presenti i migliori interessi della comunità.

Qualora PepGen decida di rendere disponibile l'accesso allargato in futuro, la presente politica sarà aggiornata, inclusi i criteri applicati da PepGen nella valutazione delle richieste di accesso allargato.

Gli operatori sanitari interessati ad avere maggiori informazioni su uno dei nostri EDO sperimentali, o i medici che desiderano chiarimenti sulla presente politica di accesso allargato o sulla partecipazione dei loro pazienti a uno dei nostri studi clinici, possono inviare una richiesta all'indirizzo [clinicaltrials@pepgen.com](mailto:clinicaltrials@pepgen.com). L'azienda risponderà alle richieste non appena possibile e, in genere, entro sette (7) giorni lavorativi dalla ricezione.