

Études cliniques

PepGen s'engage pour changer la vie des personnes atteintes de maladies neuromusculaires et neurologiques. Nous menons nos études cliniques en mettant la sécurité et le bien-être des participants au premier plan. Nous travaillons en concertation étroite avec les personnes atteintes de ces maladies, leurs aidants, les associations de patients, les cliniciens, les autorités compétentes et les experts du secteur. Chez PepGen, nous sommes conscients du temps et des efforts consacrés aux études cliniques non seulement par les participants, mais également par leurs proches, et nous leur sommes reconnaissants de soutenir notre mission.

Nos études cliniques actives sont présentées ci-dessous :

Dystrophie musculaire de Duchenne (DMD)



CONNECT1-EDO51

Âge : 6 à 16 ans

Titre officiel : Étude de phase 2 en ouvert, à doses croissantes répétées, avec une prolongation à long terme, du PGN-EDO51 chez des patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne relevant du traitement par la technique du saut de l'exon 51 (CONNECT1-EDO51)

Résumé : L'objectif principal de la période à doses croissantes répétées est d'évaluer l'innocuité et la tolérance de doses croissantes répétées de PGN-EDO51 administrées par voie intraveineuse (IV) chez des patients de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD). L'objectif principal de la période de prolongation à long terme est d'évaluer l'innocuité et la tolérance à long terme du PGN-EDO51 chez les patients ayant terminé la période à doses croissantes répétées. L'étude comporte trois périodes : Une période de sélection (allant jusqu'à 45 jours), une période de traitement et d'observation (de 16 semaines) et une période de prolongation (de 108 semaines).

Conditions requises :

- Patients de sexe masculin de naissance et âgés 6 à 16 ans.
- Diagnostic de dystrophie musculaire de Duchenne relevant de la technique du saut de l'exon 51 (un test génétique sera obligatoire pour que les patients puissent participer à l'étude).
- Poids d'au moins 18 kg/40 lbs.
- Patients acceptant la réalisation de deux biopsies musculaires ouvertes au total (pour le prélèvement d'échantillons de tissu musculaires).

Remarque : d'autres conditions pour la participation à l'étude s'appliqueront.



CONNECT2-EDO51

Temporairement en pause

Âge : 6 à 16 ans

Titre officiel : Étude de phase 2 à répartition aléatoire, à double insu, contrôlée contre placebo, à doses croissantes répétées, avec une prolongation à long terme, du PGN-EDO51 chez des patients de dystrophie musculaire de Duchenne relevant du traitement par la technique du saut de l'exon 51 (CONNECT2- EDO51)

Résumé : L'objectif principal de la période à doses croissantes répétées est d'évaluer l'innocuité et la tolérance, ainsi que les taux de dystrophine dans les muscles squelettiques, après administration de doses mensuelles de PGN-EDO51 par voie intraveineuse chez des patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) relevant de la technique du saut de l'exon 51. La période à doses croissantes répétées est une période à double insu, contrôlée contre placebo, dans laquelle les patients seront assignés de façon aléatoire selon un rapport 3:1 pour recevoir le PGN-EDO51 (le médicament actif) ou le placebo. Le placebo a le même aspect que le PGN-EDO51 mais ne contient pas de médicament actif. La période à doses croissantes répétées est suivie d'une période de prolongation en ouvert au cours de laquelle les patients ayant terminé la période à doses croissantes répétées recevront le PGN-EDO51, quel que soit le groupe auquel ils avaient été assignés précédemment.

Au total, l'étude comporte une période de sélection (allant jusqu'à 45 jours) et une période à doses croissantes répétées (de 28 semaines), suivie d'une période de prolongation en ouvert (de 108 semaines).

Conditions requises :

- Patients de sexe masculin de naissance et âgés 6 à 16 ans.
- Diagnostic de dystrophie musculaire de Duchenne relevant de la technique du saut de l'exon 51 (un test génétique sera obligatoire pour que les patients puissent participer à l'étude).
- Poids d'au moins 25 kg/55 lbs.
- Patients acceptant la réalisation de deux biopsies musculaires ouvertes au total (pour le prélèvement d'échantillons de tissu musculaires).

Remarque : d'autres conditions pour la participation à l'étude s'appliqueront.

Dystrophie myotonique de type 1 (DM1)



FREEDOM-DM1

● **Recrutement en cours**
Âge : 18 à 50 ans

Titre officiel : Étude de phase I contrôlée contre placebo visant à évaluer l'innocuité, la tolérance, la pharmacocinétique et la pharmacodynamique du PGN-EDOM1 administré à doses croissantes uniques chez des patients adultes atteints de dystrophie myotonique de type 1 (FREEDOM-DM1)

Résumé : L'objectif principal de l'étude est d'évaluer l'innocuité et la tolérance de doses uniques de PGN-EDODM1 administrées par voie intraveineuse (IV) chez des patients atteints de dystrophie myotonique de type 1 (DM1). L'étude comporte deux périodes : Une période de sélection (allant jusqu'à 30 jours) et une période de traitement et d'observation (de 16 semaines).

Conditions requises :

- Âge de 18 à 50 ans.
- Diagnostic de DM1.
- Patients acceptant la réalisation de trois biopsies musculaires ouvertes au total (un échantillon de tissu musculaire de la jambe sera prélevé) sur plusieurs mois.

Remarque : d'autres critères d'admissibilité pourront s'appliquer.

Pour plus d'informations, [cliquez ici](#) ou consultez clinicaltrials.gov (NCT06204809)



FREEDOM2-DM1

● **Recrutement en cours**
Âge : 16 à 60 ans

Titre officiel : Étude de phase II à répartition aléatoire, à double insu, contrôlée contre placebo, à doses croissantes répétées, du PGN-EDODM1 chez des patients adultes atteints de dystrophie myotonique de type 1 (FREEDOM2-DM1)

Résumé : L'objectif principal de cette étude est d'évaluer l'innocuité et la tolérance de doses répétées de PGN-EDODM1 administrées par voie intraveineuse (IV) chez des patients atteints de dystrophie myotonique de type 1. L'étude comporte une période de sélection allant jusqu'à 45 jours et une période de traitement de 12 semaines.

Conditions requises :

- Âge de 16 à 60 ans.
- Diagnostic de DM1.
- Patients acceptant la réalisation de deux biopsies musculaires à l'aiguille au total (un échantillon de tissu musculaire de la jambe sera prélevé) sur plusieurs mois.

Remarque : d'autres critères d'admissibilité pourront s'appliquer.

Pour plus d'informations, [cliquez ici](#) ou consultez clinicaltrials.gov (NCT06667453)

Accès élargi

PepGen développe des oligonucléotides à libération améliorée (EDO – *Enhanced Delivery Oligonucleotides*) pour le traitement possible de maladies neuromusculaires. Nous menons actuellement des études cliniques afin d'évaluer le potentiel de nos EDO expérimentaux. Ces études cliniques comportent des critères d'admissibilité spécifiques destinés à permettre une interprétation optimale des données à ces premiers stades de développement. Les données générées à partir de ces études pourront permettre à PepGen dans l'avenir de soumettre les demandes d'autorisation de mise en marché nécessaires aux autorités compétentes telles que la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis et l'Agence européenne des médicaments (EMA).

Lorsqu'une personne ne peut pas participer à une étude clinique, il existe un ensemble de critères spécifiques qui peuvent lui permettre d'avoir accès au médicament expérimental. Ces situations sont souvent appelées programmes d'accès élargi (PEE), d'usage compassionnel ou d'accès précoce. Pour être admissible, la personne doit être atteinte d'une maladie ou affection grave ou mettant immédiatement sa vie en danger, il ne doit pas exister de traitement comparable ou satisfaisant pour la personne et les bienfaits possibles doivent justifier les risques possibles du traitement. Dans cette situation, le médecin de la personne peut demander l'accès à des traitements expérimentaux en dehors du cadre d'études cliniques.

Actuellement, PepGen ne propose pas d'accès élargi à l'un de ses EDO expérimentaux en dehors d'études cliniques, car la société est encore en train de collecter des données précliniques et cliniques afin de mieux connaître les bienfaits potentiels et les risques de ses EDO expérimentaux. Par conséquent, l'accès à nos EDO expérimentaux n'est disponible que dans le cadre de la participation à des études cliniques. Au fur et à mesure que nous continuons à développer nos EDO expérimentaux, notre objectif est de donner

accès à ces traitements au moment approprié et en veillant toujours aux intérêts de la communauté. Si PepGen décide de rendre disponible l'accès élargi dans l'avenir, cette politique, incluant les critères que PepGen appliquera pour l'évaluation des demandes d'accès élargi, sera mise à jour.

Si vous êtes un professionnel de la santé désireux d'en savoir plus sur l'un de nos EDO expérimentaux, ou un médecin souhaitant poser des questions à propos de cette politique d'accès élargi ou de la participation de vos patients à l'une de nos études cliniques, veuillez adresser une demande à clinicaltrials@pepgen.com. La société accusera réception des demandes dès que possible, et en général dans les sept (7) jours suivant leur réception.