

## Ensayos clínicos

PepGen está comprometida a cambiar la vida de las personas con trastornos neuromusculares y neurológicos. Llevamos a cabo nuestros ensayos clínicos priorizando la seguridad y el bienestar de los participantes. Trabajamos conjuntamente con personas que viven con estos trastornos, sus cuidadores, grupos de defensa, médicos, reguladores y expertos del sector. En PepGen, reconocemos el tiempo y el esfuerzo que dedican a los ensayos clínicos no solo los participantes, sino también sus seres queridos, y les agradecemos por apoyar nuestra misión en PepGen.

Vea nuestros ensayos clínicos en curso a continuación:

### Distrofia muscular de Duchenne (DMD)



#### **CONNECT1-EDO51**

**● Se buscan participantes mayores de 8 años**

Título oficial. Estudio de fase II, abierto, de dosis múltiples ascendentes de PGN-EDO51, con una extensión a largo plazo, en participantes con distrofia muscular de Duchenne susceptibles al tratamiento de omisión del exón 51 (CONNECT1-EDO51)

Resumen. El objetivo principal del período de administración de dosis múltiples ascendentes (MAD) es evaluar la seguridad y la tolerabilidad de múltiples dosis intravenosas (i.v.) ascendentes de PGN-EDO51 administradas a participantes con distrofia muscular de Duchenne (DMD). El objetivo principal del período de extensión a largo plazo (LTE) es evaluar la seguridad y la tolerabilidad a largo plazo de PGN-EDO51 en participantes que completaron el período de MAD. El estudio consiste en 3 etapas: Una etapa de cribado (hasta 45 días), una etapa de tratamiento y observación (16 semanas) y una etapa de extensión (108 semanas).

#### Requisitos:

- Ser de sexo masculino de nacimiento y tener al menos 8 años
- Estar diagnosticado con Duchenne susceptible a la omisión del exón 51 (se requerirán pruebas genéticas para participar)
- Pesar al menos 25 kg/55 lb
- Estar dispuesto a hacerse dos biopsias musculares abiertas (para recolectar muestras de tejido muscular)

*Nota: Se aplicarán otros requisitos para participar en el estudio.*

**Para obtener más información, [haga clic aquí](#) o visite [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov) (NCT06079736)**



## CONNECT2-EDO51

● **Se buscan participantes mayores de 6 años**

Título oficial. Estudio de fase II, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo, de dosis múltiples ascendentes de PGN-EDO51, con una extensión a largo plazo, en participantes con distrofia muscular de Duchenne susceptible al tratamiento de omisión del exón 51 (CONNECT2-EDO51)

Resumen. El objetivo principal de la etapa de dosis múltiple ascendente (MAD) es evaluar la seguridad y la 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 a la omisión del exón 51. La etapa de MAD es doble ciego y controlada con placebo, en la que a los pacientes se les asignará PGN-EDO51 activo o placebo de forma aleatoria en una relación de 3:1. El placebo se parece a PGN-EDO51 pero no contiene ningún medicamento activo. A la etapa de MAD le sigue una etapa de extensión abierta, en la que los pacientes que completen la etapa de MAD recibirán PGN-EDO51 activo, independientemente de la asignación previa.

En general, el estudio consiste en una etapa de cribado (hasta 45 días) y una etapa de MAD (28 semanas), seguida de una etapa de extensión abierta (108 semanas).

### Requisitos:

- Ser de sexo masculino de nacimiento y tener al menos 6 años
- Estar diagnosticado con Duchenne susceptible a la omisión del exón 51 (se requerirán pruebas genéticas para participar)
- Pesar al menos 25 kg/55 lb
- Estar dispuesto a hacerse dos biopsias musculares abiertas (para recolectar muestras de tejido muscular)

*Nota: Se aplicarán otros requisitos para participar en el estudio.*

**Para obtener más información, envíe un correo electrónico a [clinicaltrials@pepgen.com](mailto:clinicaltrials@pepgen.com)**

## Distrofia miotónica tipo 1 (DM1)



**FREEDOM-DM1**

● **Se buscan participantes de 18 a 50 años**

Título oficial. Estudio de fase 1, controlado con placebo, para evaluar la seguridad, la tolerabilidad, la farmacocinética y la farmacodinamia de dosis únicas ascendentes de PGN-EDODM1 en participantes adultos con distrofia miotónica tipo 1 (FREEDOM-DM1)

Resumen. El objetivo principal del estudio es evaluar la seguridad y la tolerabilidad de dosis únicas intravenosas (i.v.) de PGN-EDODM1 administradas a participantes con distrofia miotónica tipo 1 (DM1). El estudio consiste en 2 etapas: Una etapa de cribado (hasta 30 días) y una etapa de tratamiento y observación (16 semanas).

Requisitos:

- Tener entre 18 y 50 años
- Tener DM1
- Estar dispuesto a hacerse 3 biopsias musculares con aguja (se recolectará una muestra del tejido de la pierna) durante varios meses

*Nota: Pueden aplicarse otros criterios de inclusión y exclusión.*

**Para obtener más información, [haga clic aquí](#) o visite [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov) (NCT06204809)**



**FREEDOM2-DM1**

**De 18 a 50 años**

Título oficial. Estudio de fase II, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo y de dosis múltiples ascendentes de PGN-EDODM1 en participantes adultos con distrofia miotónica tipo 1 (FREEDOM2-DM1)

Resumen. El objetivo principal de este estudio es evaluar la seguridad y la tolerabilidad de múltiples dosis intravenosas (i.v.) de PGN-EDODM1 administradas a participantes con distrofia miotónica tipo 1 (DM1). El estudio consiste en una etapa de cribado de 45 días como máximo y una etapa de tratamiento de 12 semanas.

Requisitos:

- Tener entre 18 y 50 años
- Tener DM1
- Estar dispuesto a hacerse 2 biopsias musculares con aguja (se recolectará una muestra del tejido de la pierna) durante varios meses

*Nota: Pueden aplicarse otros criterios de inclusión y exclusión.*

**Para obtener más información, envíe un correo electrónico a [clinicaltrials@pepgen.com](mailto:clinicaltrials@pepgen.com)**

### **Acceso ampliado:**

PepGen está desarrollando oligonucleótidos de administración mejorada (EDO) para el tratamiento potencial de trastornos neuromusculares. Actualmente estamos realizando ensayos clínicos para evaluar el potencial de nuestros EDO en investigación. Estos ensayos clínicos tienen criterios de inclusión y exclusión específicos diseñados para interpretar mejor los datos en esta etapa temprana de desarrollo. Los datos obtenidos en estos ensayos pueden permitir que PepGen, en el futuro, solicite las aprobaciones de comercialización necesarias de organismos reguladores como la Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (FDA) y la Agencia Europea de Medicamentos (EMA).

Cuando una persona no puede participar en un ensayo clínico, existe un conjunto específico de criterios que pueden permitirle tener acceso al fármaco en estudio. Estas situaciones suelen denominarse programas de acceso ampliado (EAP), uso compasivo o acceso temprano. Para calificar, la persona debe tener una enfermedad o afección grave o potencialmente mortal, no debe existir un tratamiento similar o satisfactorio para la persona, y los beneficios potenciales deben justificar los riesgos potenciales del tratamiento. En esta situación, el médico de una persona puede pedir el acceso a tratamientos en investigación fuera del entorno del ensayo clínico.

Actualmente, PepGen no ofrece acceso ampliado a ninguno de sus EDO en investigación fuera de los ensayos clínicos, ya que la empresa todavía está obteniendo datos preclínicos y clínicos para comprender mejor los riesgos y beneficios potenciales de sus EDO en investigación. Como resultado, solo se puede acceder a nuestros EDO mediante la participación en ensayos clínicos. A medida que continuamos desarrollando nuestros EDO en investigación, nuestro objetivo es ofrecer acceso a estos tratamientos en el momento adecuado y teniendo en cuenta los beneficios para la comunidad. En el caso de que PepGen decida permitir el acceso ampliado en el futuro, esta política se actualizará, incluidos los criterios que PepGen aplicará para evaluar las solicitudes de acceso ampliado.

Si usted es un profesional sanitario que tiene interés en obtener más información sobre uno de nuestros EDO en investigación o si es un médico que tiene preguntas sobre esta política de acceso ampliado o sobre la participación de sus pacientes en uno de nuestros ensayos clínicos, envíe una solicitud a [clinicaltrials@pepgen.com](mailto:clinicaltrials@pepgen.com). La empresa acusará recibo de las preguntas lo antes posible y, por lo general, dentro de los siete (7) días hábiles posteriores a su recepción.