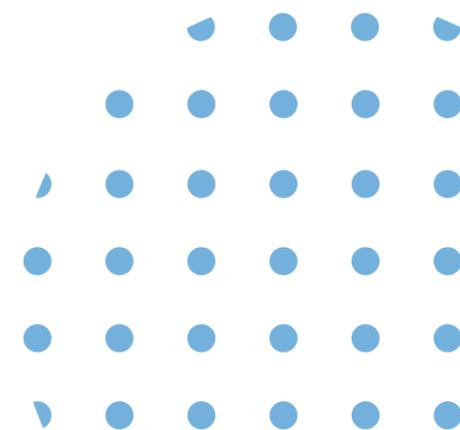




PUNTO D'ASCOLTO

IMPORTANTI NOVITA' PER IL TRIAL MARINA

Prof. Giovanni Meola
Fondatore e Presidente FMM



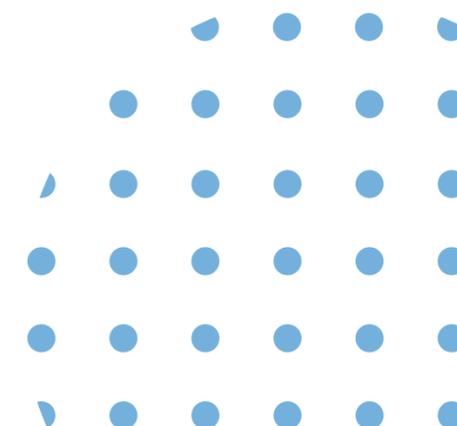


**Trial Marina:
importanti novità**

**PUNTO
D'ASCOLTO**

Il 14 dicembre 2022 la casa farmaceutica Avidity Bio ha annunciato i promettenti dati preliminari dello studio di Fase 1/2 MARINA™ di AOC 1001 in adulti affetti da distrofia miotonica di tipo 1 (DM1).

**Prof. Giovanni Meola
Fondatore e Presidente FMM**



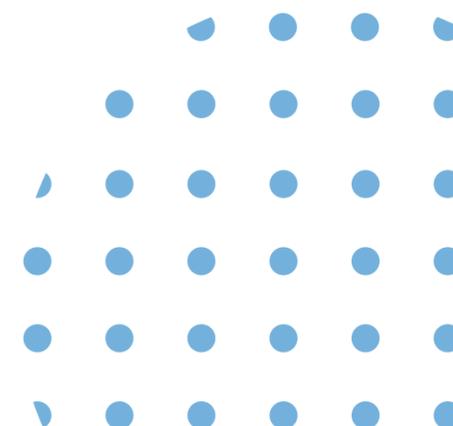


**Trial Marina:
importanti novità**

**PUNTO
D'ASCOLTO**

La valutazione preliminare dello studio di Fase 1/2 MARINA, randomizzato, in doppio cieco e controllato con placebo, di AOC 1001 fornisce i primi dati sull'uomo e un'analisi intermedia della sicurezza e della tollerabilità di tutti i 38 partecipanti e dei biomarcatori chiave in 19 partecipanti.

**Prof. Giovanni Meola
Fondatore e Presidente FMM**



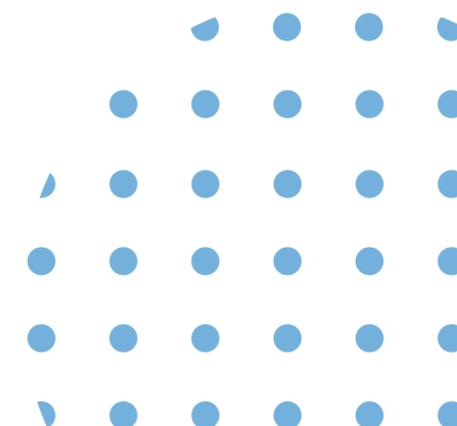


Trial Marina:
importanti novità

**PUNTO
D'ASCOLTO**

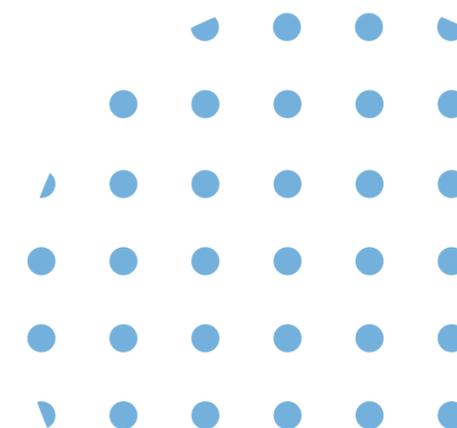
La valutazione preliminare include **dati sui biomarcatori sei settimane dopo la somministrazione.** I partecipanti hanno ricevuto una dose singola di **1 mg/kg di AOC 1001**, due dosi di **2 mg/kg di AOC 1001** (che si riflette come dose di siRNA) o placebo. I dati di AOC 1001 Fase 1/2 della valutazione preliminare hanno dimostrato:

Prof. Giovanni Meola
Fondatore e Presidente FMM



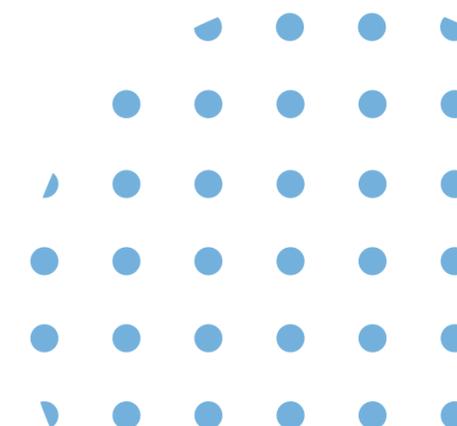
- **distribuzione mirata del siRNA al muscolo**, un tessuto precedentemente non trattabile con i farmaci a RNA esistenti;
- **riduzione significativa della DMPK** nel 100% dei partecipanti trattati con AOC 1001;
- **riduzione media del 45% della DMPK dopo una sola dose di 1 mg/kg o due dosi di 2 mg/kg di AOC 1001**;

Prof. Giovanni Meola
Fondatore e Presidente FMM



- **distribuzione mirata del siRNA al muscolo**, un tessuto precedentemente non trattabile con i farmaci a RNA esistenti;
- **riduzione significativa della DMPK** nel 100% dei partecipanti trattati con AOC 1001;
- **riduzione media del 45% della DMPK dopo una sola dose di 1 mg/kg o due dosi di 2 mg/kg di AOC 1001**;

Prof. Giovanni Meola
Fondatore e Presidente FMM



- **miglioramento dello splicing del 31%** in un insieme chiave di geni specifici del muscolo e **miglioramento dello splicing del 16%** in un ampio pannello di 22 geni nella coorte di 2 mg/kg. **I miglioramenti dello splicing dimostrano l'attività di AOC 1001 nel nucleo;**
- **primi segni di attività clinica con miglioramento della miotonia in alcuni partecipanti.** La miotonia è stata misurata mediante il tempo di apertura della mano (vHOT) ed è un segno distintivo della DM1, in cui il rilassamento di gruppi muscolari chiave è compromesso.
- dati di sicurezza e tollerabilità con la maggior parte degli eventi **avversi (AE) lievi o moderati.**

Prof. Giovanni Meola
Fondatore e Presidente FMM

