



10 de septiembre de 2025

Querida comunidad DMD:

Nos complace compartir con ustedes el día de hoy nuevos datos positivos del ensayo clínico de Fase 1/2 EXPLORE44® completado, así como del ensayo EXPLORE44-OLE™ en curso, diseñados para evaluar la seguridad y eficacia de nuestra terapia en investigación del pacibart zotadirsen (abreviada como del-zota) en personas con distrofia muscular de Duchenne susceptibles a la omisión del exón 44 (DMD44).

Los datos funcionales muestran reversión de la progresión de la enfermedad a lo largo de medidas clave, incluyendo tiempo para subir 4 escalones, prueba para caminar de 10 metros, tiempo para levantarse, prueba funcional de extremidades superiores, y estabilización de la progresión en la escala ambulatoria North Star, esto al ser comparadas con el punto de partida y los datos de historia natural de aquellos individuos con DMD44.

El análisis exploratorio mostró también reducción en los niveles de creatina quinasa por más del 80% comparados con el punto de partida. Estos cambios se mantuvieron cerca de los niveles normales durante los 16 meses de seguimiento. Así mismo, el análisis mostró incrementos de aproximadamente 25% en la producción normal de distrofina. El ensayo EXPLORE44-OLE y del-zota continuaron demostrando seguridad alentadora a largo plazo y perfil de tolerabilidad.

Puede revisar nuestro comunicado de prensa anunciando los resultados completos y los datos de seguridad aquí:

[Avidity Biosciences' Del-zota Demonstrated Reversal of Disease Progression Across Key Functional Endpoints in EXPLORE44® and EXPLORE44-OLE™ Phase 1/2 Trial in People Living with DMD44 - Sep 10, 2025](#)

Del-zota es un producto en investigación y no ha sido aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (FDA, por sus siglas en inglés) o alguna otra autoridad regulatoria para uso comercial; la seguridad y eficacia de del-zota no se han establecido.

WEBINAR PARA LA COMUNIDAD

Próximo webinar presentado por CureDuchenne

Para conocer más sobre estos hallazgos, lo invitamos a acompañarnos a un webinar en colaboración con CureDuchenne. El equipo de Avidity presentará los datos de funcionalidad, enfocándose en lo que estos resultados significan para la comunidad DMD44.



Fecha: jueves 18 de septiembre de 2025

Hora: 2:00 p.m., Hora del Pacífico / 5:00 p.m., Hora del Este

Cómo unirse: Puede registrarse para unirse al webinar a través de este enlace: [Webinar Registration - Zoom](#). Dentro de la primera semana después del webinar, estará disponible una grabación en el sitio web de CureDuchenne.

Quisiéramos extender nuestra más sincera gratitud a todos los participantes del programa de desarrollo de EXPLORE44, así como a sus familias, nuestros colaboradores defensores, los investigadores y sus equipos, por su tiempo y compromiso continuo. Compartimos la urgencia y el deseo de ofrecer un tratamiento nuevo para la comunidad DMD tan pronto como sea posible. Para la comunidad en EE. UU., nos mantenemos según lo planeado en enviar la solicitud para la Licencia para Productos Biológicos (BLA, por sus siglas en inglés) a la FDA a finales de 2025 para la aprobación acelerada. Continuamos también preparándonos para un estudio confirmatorio de fase 3 que respalde la aprobación completa mundial.

Seguimos firmes con nuestro compromiso de avanzar en las terapias importantes y tenemos esperanza en el potencial de del-zota para cambiar el curso de la enfermedad para las personas con DMD44. Por favor, contacte a su doctor si tiene preguntas sobre del-zota o los ensayos EXPLORE44 y EXPLORE44-OLE.

Atentamente,

El equipo de Avidity