

**Pfizer B.V.***(besloten vennootschap met beperkte aansprakelijkheid)*PO box 37  
2900 AA Capelle aan den IJssel  
the NetherlandsRivium Westlaan 142  
2909 LD Capelle aan den IJssel  
the Netherlandstel 31 (0)10 4064 200  
C.o.C. nr. 34087728

Datum: 8 mei 2024

Tot ons grote verdriet hebben wij vernomen dat een patiënt die deelnam aan onze fase 2 [DAYLIGHT](#) studie voor Duchenne spierdystrofie plotseling is overleden. Namens iedereen bij Pfizer betuigen wij ons medeleven aan zijn familie, vrienden en naasten. We begrijpen dat ook de Duchenne-gemeenschap in Nederland geschrokken is van dit nieuws.


Op dit moment beschikken we nog niet over de volledige informatie en werken we actief samen met de onderzoeker van de studielocatie om te begrijpen wat er precies is gebeurd. De patiënt heeft begin 2023 de experimentele gentherapie gekregen.

De initiële dosering in de placebo gecontroleerde gerandomiseerde fase 3 [CIFFREO](#) studie is in 2023 voltooid. Deze studie heeft een 'cross-over' studieopzet met twee groepen, waarbij de eerste groep eerst gentherapie en na 1 jaar placebo krijgt en de tweede groep in omgekeerde volgorde wordt behandeld. We hebben besloten deze studie voorlopig te pauzeren voor de patiënten die nog de tweede behandeling zouden krijgen en we werken nauw samen met het onafhankelijke 'External Data Monitoring Committee' om de gegevens te beoordelen. Behalve deze pauze in dosering, gaat de studie door zoals gepland.

In zowel de DAYLIGHT- als in de CIFFREO-studie wordt de experimentele gentherapie onderzocht bij patiënten met Duchenne spierdystrofie, in verschillende leeftijdsgroepen: DAYLIGHT bij jongens van 2 en 3 jaar, en CIFFREO bij jongens van 4 tot en met 7 jaar. Behalve in de CIFFREO is de doseringspauze niet van toepassing op andere lopende onderzoeken in het onderzoeksprogramma, aangezien de dosering in die onderzoeken is voltooid.

De veiligheid en het welzijn van de patiënten in onze klinische studies zijn en blijven voor Pfizer topprioriteit. We zijn vastbesloten om meer informatie te delen met de medische en patiëntengemeenschap zo snel als we kunnen.

Met vriendelijke groet,  
namens Pfizer Nederland

DocuSigned by:  
  
mei 8, 2024  
FD11181C377840A...

Renée Molenaar-Overmeer, Ph.D.  
Medical Affairs Lead Rare Diseases and Internal Medicine