



Dear Achondroplasia Community Members,

We are happy to share a significant milestone in our mission to develop the first oral treatment option for families living with achondroplasia, potentially allowing individuals and families greater control and choice over their healthcare decisions.

Yesterday, BridgeBio announced that the FDA has granted Breakthrough Therapy Designation for oral infigratinib, which is under development for children living with achondroplasia.

What is Breakthrough Therapy Designation?

The Breakthrough Therapy Designation is designed to expedite the development and regulatory review of drugs that meet stringent criteria, including showing preliminary clinical evidence that the drug may be substantially more effective than other available therapies.

This is the **first time this designation has been granted** for an investigational achondroplasia drug, which was received based on phase 2 data from our PROPEL clinical program. The PROPEL program studies a wide range of outcomes to better understand the holistic impact of infigratinib in children living with achondroplasia, including measures related to quality of life, growth, and medical impacts. In August 2024, the PROPEL 2 (Phase 2 study) 12-month and 18-month data were shared with the community, suggesting improvements in body proportionality and a sustained increase in height over time.

What Does this Mean for Families?

Receiving the Breakthrough Therapy Designation marks an important step towards potentially offering the **first oral therapeutic option** more readily for families. With a wider range of therapies available, families are empowered to choose the option that best supports their healthcare journey.

While many individuals lead rich and meaningful lives with achondroplasia, the condition may impact certain aspects of health-related quality of life. This designation could accelerate access to an oral therapy that has the potential to help individuals lead a life with increased confidence and improved functionality.

QED, an affiliate company of BridgeBio, will work closely with the FDA to expedite the development of infigratinib, and we will continue to work closely with you—listening, learning, and ensuring that we address the diverse and unique needs of the skeletal dysplasia community.

We extend our deepest gratitude to the individuals, families, and advocacy organizations, whose voices, experiences, and involvement have been vital in guiding us to this milestone.

Warmly,

The QED Therapeutics Patient Advocacy Team:

Anne Grumet, Sr. Director, Global Patient Advocacy

Kirsten Kiefer, Sr. Manager, Patient Advocacy

Alisa Santiesteban, Community & Communications Manager

Estimados miembros de la comunidad de acondroplasia:

Nos complace compartir un hito importante en nuestra misión de desarrollar la primera opción de tratamiento oral para familias que viven con acondroplasia, lo que potencialmente permitirá a las personas y a las familias un mayor control y elección sobre sus decisiones de atención médica.

Ayer, BridgeBio anunció que la FDA ha otorgado la designación de terapia innovadora para infigratinib oral, que se encuentra en desarrollo para niños que viven con acondroplasia.

¿Qué es la designación de terapia innovadora?

La designación de terapia innovadora está diseñada para acelerar el desarrollo y la revisión regulatoria de medicamentos que cumplen con criterios estrictos, incluida la demostración de evidencia clínica preliminar de que el medicamento puede ser sustancialmente más eficaz que otras terapias disponibles.

Esta es la **primera vez que se otorga esta designación para un medicamento en investigación para la acondroplasia**, que se recibió en función de los datos de la fase 2 de nuestro programa clínico PROPEL. El programa PROPEL estudia una amplia gama de resultados para comprender mejor el impacto holístico de infigratinib en niños que viven con acondroplasia, incluidas las medidas relacionadas con la calidad de vida, el crecimiento y los impactos médicos. En agosto de 2024 se compartieron con la comunidad los datos de 12 y 18 meses de PROPEL 2 (estudio de fase 2), lo que sugiere mejoras en la proporcionalidad corporal y un aumento sostenido de la altura a lo largo del tiempo.

¿Qué significa esto para las familias?

Recibir la designación de terapia innovadora marca un paso importante hacia la posibilidad de ofrecer la **primera opción terapéutica oral** de manera más sencilla para las familias. Con una gama más amplia de terapias disponibles, las familias tienen la posibilidad de elegir la opción que mejor respalde su recorrido de atención médica.

Si bien muchas personas llevan vidas plenas y significativas con acondroplasia, la afección puede afectar ciertos aspectos de la calidad de vida relacionada con la salud. Esta designación podría acelerar el acceso a una terapia oral que tiene el potencial de ayudar a las personas a llevar una vida con mayor confianza y una funcionalidad mejorada.

QED, una empresa afiliada de BridgeBio, trabajará en estrecha colaboración con la FDA para acelerar el desarrollo de infigratinib, y continuaremos trabajando en estrecha colaboración con usted: escuchando, aprendiendo y asegurándonos de que abordamos las necesidades diversas y únicas de la comunidad de displasia esquelética.

Extendemos nuestro más profundo agradecimiento a las personas, familias y organizaciones de defensa, cuyas voces, experiencias y participación han sido vitales para guiarnos hacia este hito.

Cordialmente,

El equipo de defensa del paciente de QED Therapeutics:

Anne Grumet, directora sénior, defensa del paciente global

Kirsten Kiefer, gerente sénior, defensa del paciente

Alisa Santiesteban, gerente de comunicaciones y comunidad