

Mise à jour à l'attention des patients et des familles sur les résultats de l'essai sur ataluren chez les patients atteints d'une dystrophie musculaire de Duchenne ou de Becker associée à une mutation non-sens

PTC Therapeutics et Genzyme Corporation continuent à analyser les résultats de l'essai clinique de phase 2b sur ataluren chez les patients atteints d'une dystrophie musculaire de Duchenne ou de Becker associée à une mutation non-sens (DMDBnm). Même si l'examen initial des données a montré que le principal critère d'évaluation primaire du changement au niveau de la distance parcourue au cours d'un test de marche de 6 minutes n'a pas atteint de signification statistique au cours de la période de 48 semaines de l'étude, il est nécessaire de procéder à des analyses statistiques supplémentaires pour bien comprendre les résultats. Cela aidera à déterminer les voies clinique et réglementaire futures pour les patients atteints de DMDBnm et pour ataluren.

Cet essai jalon de phase 2b, qui incluait 174 garçons et jeunes hommes âgés de 5 à 20 ans, a montré qu'ataluren était bien toléré. Aucun patient de l'essai clinique n'a arrêté le traitement en raison d'un événement indésirable. Grâce à la diligence des investigateurs, des patients et des familles, l'essai a été bien mené : L'observance du schéma posologique du médicament et des procédures de l'étude a été exceptionnellement élevée.

Maintenant, notre travail doit se poursuivre. PTC et Genzyme effectuent de multiples analyses des données supplémentaires afin de mieux comprendre les variations dans les résultats de l'essai et, en conjonction avec les autorités réglementaires, d'identifier les étapes suivantes appropriées pour le programme d'ataluren dans le traitement de la DMDBnm. Nous comprenons que les données de cette étude sont importantes pour les patients de l'essai clinique sur ataluren et la communauté DMDBnm en entier. À mesure que nous continuerons à collaborer avec les investigateurs, les autorités réglementaires et les défenseurs des patients, nous fournirons des mises à jour des résultats.

Nous recommandons que les patients et les familles qui ont participé à la phase 2b et dans d'autres essais cliniques sur ataluren effectuent un suivi auprès de leur investigateur pour discuter de leurs résultats individuels. Nous avons fourni les attributions de traitement aux investigateurs qui indiquent si un patient ayant participé à l'essai de phase 2b a reçu du placebo, de l'ataluren à faible dose ou de l'ataluren à dose élevée. En outre, nous avons informé les investigateurs qu'ils peuvent faire partager les informations liées à l'essai contenues dans les dossiers médicaux locaux à leurs patients.

Nous voudrions remercier chaleureusement et exprimer notre gratitude envers chaque personne impliquée dans cet essai et dans l'essai de phase 2a, et en particulier envers les garçons et jeunes hommes qui y ont participé. Grâce à leurs contributions, nous avons avancé dans notre compréhension de la dystrophie musculaire de Duchenne ou Becker, pour le bénéfice de toute la communauté. L'essai a fourni toute une gamme de données qui renseigneront la conception des futurs essais et le développement de nouvelles options de traitement.

Si vous avez des questions concernant le programme clinique d'ataluren, vous êtes encouragé à contacter Genzyme Corporation à l'adresse : eumedinfo@genzyme.com