

# Dystrophies musculaires de **DUCHENNE** (DMD) et de **BECKER** (DMB)

## > Translecture des codons stop à l'essai

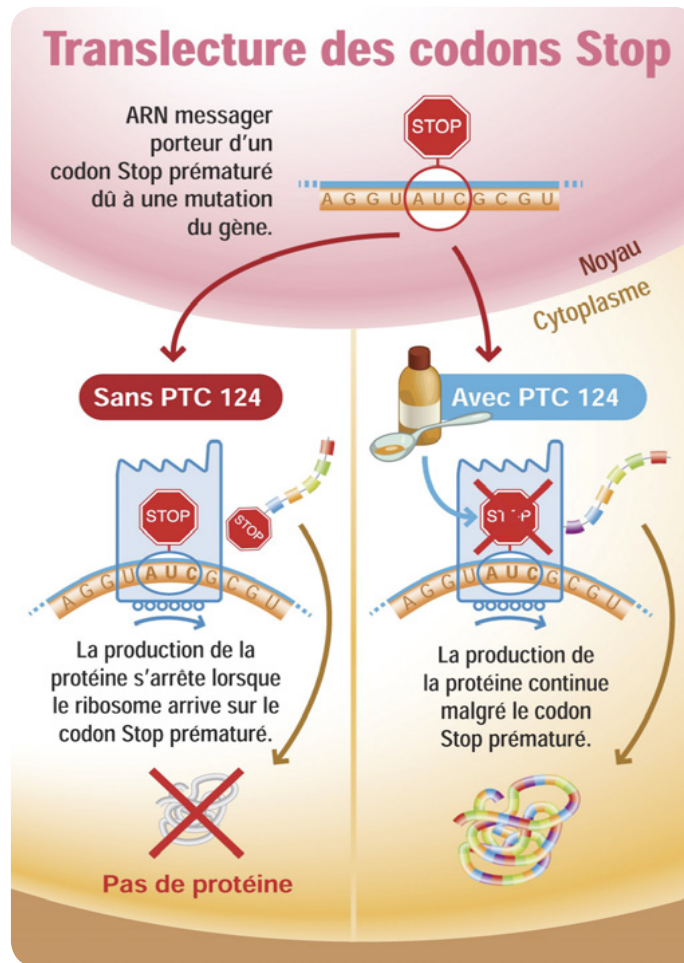
### L'ataluren® (ou PTC124)

est un composé utilisé dans le traitement des maladies génétiques liées à des mutations dites "stop" ou "non-sens".

Ce type de mutation conduit à la formation d'un codon "stop" prématuré dans l'ARN messager.

On estime que 15 % des personnes atteintes de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) ont des mutations "stop" ou "non-sens".

L'ataluren® a la capacité de forcer la lecture de ces codons "stop" prématurés (on parle de "translecture") et de restaurer ainsi la production d'une dystrophine entière et fonctionnelle.



### FAITS MARQUANTS

#### L'ataluren (ou Translarna™ ou PTC 124)

- > Quatre essais internationaux en cours y compris en France.
- > Une **autorisation de mise sur le marché conditionnelle en Europe** : le Translarna™ s'adresse aux personnes atteintes de DMD, âgés de plus de 5 ans, ambulantes et porteuses d'une anomalie du gène *DMD* de type "codon stop".
- > Un **registre de suivi** des patients traités avec le Translarna™ (PTC Pass) (Europe y-compris la France), recueille des données supplémentaires sur le Translarna™ en pratique clinique.

Plus d'infos dans les "Avancées de la recherche dans les dystrophies musculaires de Duchenne et de Becker"