

Dystrophie musculaire de **DUCHENNE** (DMD)

> Translarna™ (ataluren) : registre PTC Pass (Post Approval Safety Study)

OBJECTIF

- > **Étudier l'évolution clinique à long terme (5 ans), l'innocuité et l'efficacité du Translarna™, en soins habituels, dans la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD).**
- Le Translarna™ peut être prescrit dans un cadre hospitalier (Dispositif pérenne post ATU) aux garçons de 5 ans et plus, atteints de DMD, marchants et porteurs d'une anomalie du gène *DMD* de type non-sens.
- Le Translarna™ bénéficie d'une AMM conditionnelle européenne depuis juillet 2014, délivrée par l'Agence européenne du médicament (EMA).

Investigateur principal

France : T. Gidaro

Centre(s) investigateur(s)

France : Toutes les consultations neuromusculaires qui prescrivent du Translarna™

Allemagne, Autriche, France, Israël, Suède

Promoteur

PTC Therapeutics

AVANCEMENT

- > **Registre observationnel international en cours de recrutement.**
- Recrutement de 200 patients au total.
- Les participants sont traités et suivis dans leur consultation neuromusculaire habituelle dans le cadre des soins courants.
- Fin de l'étude prévue en 2022.