

Dystrophie musculaire de **DUCHENNE** (DMD)

> **Translarna™ (ataluren) : deux essais de phase III, en ouvert**

OBJECTIF

- > **Ces deux essais internationaux évaluent la sécurité d'utilisation et l'efficacité de 40mg/kg/jour de Translarna™ chez des patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne, porteurs d'une anomalie du gène *DMD* de type non-sens :**
 - Extension en ouvert de l'essai de phase III en double aveugle ACT-DMD : 220 garçons de 7 à 18 ans.
 - Essai de phase III en ouvert : 95 garçons, tous âges confondus, traités auparavant par l'ataluren.

Investigateur principal

France : T. Gidaro

Centre(s) investigateur(s)

France : Marseille, Nantes, Paris (Institut I-Motion et hôpital Necker)

Promoteur

PTC Therapeutics

AVANCEMENT

- > **Extension en ouvert** de l'essai international de phase III en double aveugle ACT-DMD (essai terminé) : en cours. Fin prévue en juin 2017.
- **Essai de phase III international en ouvert** : en cours. Fin prévue en novembre 2019.