

Dystrophie musculaire de **DUCHENNE** (DMD)

> Essai de phase I/II en double aveugle puis en ouvert, évaluant le **SRP-4053**

OBJECTIF

- > **Évaluer l'innocuité, la tolérance, la pharmacocinétique et l'efficacité du SRP-4053 chez 24 garçons atteints de DMD, âgés de 6 à 15 ans, marchants, et pouvant répondre au saut de l'exon 53.**
- Groupe contrôle de 24 garçons atteints de DMD ne pouvant répondre au saut de l'exon 53 suivi en parallèle (suivi d'histoire naturelle).
- Le SRP-4053 est un oligonucléotide antisens morpholino capable d'induire le saut de l'exon 53 du gène *DMD*.

Investigateur principal

France : L. Servais

Centre(s) investigateur(s)

France : Paris (Institut I-Motion)

Italie, Royaume-Uni

Promoteur

Sarepta Therapeutics

AVANCEMENT

- > **Cet essai clinique international en 2 parties, la 1^{ère} en double aveugle et la 2^{nde} en ouvert, est en cours.**
- La 1^{ère} partie est terminée ; elle a permis de définir le dose de produit la plus adaptée.
- La 2^{nde} partie en ouvert d'une durée de 3 ans est en cours et devrait s'achever en 2019.

