

Dystrophie musculaire de DUCHENNE (DMD)

> Essai ESSENCE : phase III en double aveugle (partie 1) puis en ouvert (partie 2), évaluant le SRP-4053 et le SRP-4045

OBJECTIF

> Évaluer la tolérance, l'innocuité et l'efficacité du SRP-4053 et du SRP-4045 chez 99 garçons de 7 à 13 ans atteints de DMD et pouvant répondre soit au saut d'exon 53, soit au saut d'exon 45.

Le SRP-4053 et le SRP-4045 sont des oligonucléotides antisens morpholino capables d'induire respectivement le saut de l'exon 53 et le saut de l'exon 45 du gène *DMD*.

AVANCEMENT

> Essai international dont la 1^{ère} partie en double aveugle est en cours de recrutement (durée : 2 ans).

- 33 garçons éligibles au saut d'exon 53 recevront du SRP-4053
 - 33 garçons éligibles au saut de l'exon 45 recevront du SRP-4045
 - 33 garçons éligibles à l'un ou à l'autre saut d'exon sous placebo
- > La 2^{nde} partie en ouvert débutera ensuite : chaque garçon recevra le produit correspondant à son anomalie génétique.
- > Fin de l'essai prévu en 2021.

Investigateur principal

France : L. Servais

Centre(s) investigateur(s)

France : Paris (Institut I-Motion) Nantes et Toulouse

Europe, États-Unis, Canada

Promoteur

Sarepta Therapeutics