

Dystrophie musculaire de **DUCHENNE** (DMD)

> Étude observationnelle pré U7- 53

OBJECTIF

- > **Étudier l'évolution de la maladie chez des garçons atteints de DMD, âgés de 12 à 20 ans, et susceptibles de répondre au saut de l'exon 53 du gène *DMD*.**
- Cette étude est préalable à l'essai clinique qui évaluera l'AAV-U7- 53 et devrait démarrer prochainement. L'AAV-U7-53 permet d'induire le saut de l'exon 53 du gène *DMD*, pour restaurer la dystrophine.

Investigateur principal

L. Servais

Centre(s) investigateur(s)

Paris : Institut I-Motion

Promoteur

Généthon

Essai soutenu par l'AFM-Téléthon

AVANCEMENT

- > **Le recrutement des participants est terminé.**
- Trente cinq participants recrutés dans l'étude, qui devrait se poursuivre jusque fin 2018.