



PTC THERAPEUTICS completa il reclutamento del trial decisivo nella Distrofia Muscolare di Duchenne.

-I primi risultati sono attesi per la seconda metà del 2015 -- I dati serviranno a supportare le richieste a livello globale per ulteriori approvazioni -

SOUTH PLAINFIELD, NJ – September 9, 2014 – PTC Therapeutics, Inc. (NASDAQ: PTCT) ha annunciato oggi che è stato completato il reclutamento dei pazienti per il trial ACT DMD, lo studio di conferma di fase 3 con Translarna™ (ataluren) nei pazienti con Distrofia Muscolare di Duchenne causata da mutazione nonsense (nmDMD). I primi risultati provenienti dal trial sono previsti per la seconda metà del 2015, e supporteranno le ulteriori approvazioni a livello globale, che seguono l'approvazione europea ricevuta precedentemente quest'anno.

ACT DMD è un trial clinico di 48 settimane disegnato per confermare l'effetto di Translarna sulla deambulazione nei pazienti con nmDMD. L'obiettivo primario è il cambiamento nella distanza percorsa misurato attraverso il test del cammino dei sei minuti. Il trial ha completato il reclutamento nei 54 centri clinici a livello globale. Tutti i pazienti nel trial sono eleggibili per partecipare ad uno studio di estensione in aperto, che ha già cominciato a reclutare i pazienti che hanno completato le 48 settimane iniziali di trattamento.

Il Dr. Haluk Topaloglu, del dipartimento di neurologia dell'ospedale pediatrico Hacettepe di Ankara, Turchia ha affermato: “Il reclutamento di questo trial rappresenta un risultato significativo nel nostro sforzo volto allo sviluppo di un trattamento in grado di modificare il decorso della patologia, che migliori lo standard di cura nella DMD e la qualità della vita dei pazienti”.

Stuart W. Peltz, PhD, CEO di PTC Therapeutics, ha dichiarato: “Dovrebbe essere elogiato l'enorme impegno da parte dei pazienti e delle loro famiglie, delle associazioni di pazienti, degli sperimentatori dello studio e di PTC Therapeutics. Il completamento del reclutamento segna una tappa fondamentale nello studio ACT DMD. Abbiamo utilizzato i risultati precedenti che dimostrano l'attività clinica di Translarna, così come i nostri dati sulla storia naturale e quelli provenienti da altri studi per ottimizzare il disegno del trial ACT DMD. Questo studio è uno dei più ampi trial sulla DMD mai condotti e crediamo che abbia le potenzialità necessarie a dimostrare risultati positivi. Siamo felici di aver raggiunto questo importante risultato perché ci porta più vicini ad espandere la disponibilità di Translarna a tutti i pazienti che possono beneficiarne”.

Traduzione a cura dell'Ufficio Scientifico di Parent Project Onlus