

PTC

THERAPEUTICS

PTC Therapeutics, CHMP'den Translarna™ (Ataluren) için Olumlu Görüş Almaktadır

- Duchenne musküler distrofinin altında yatan neden için ilk tedavi -

South Plainfield, NJ – 23 Mayıs 2014 - PTC Therapeutics, Inc. (NASDAQ: PTCT) bugün, yeniden muayene etme talebinin akabinde, yaşları beş ila üzeri olan ambulator hastalarında, anlamsız mutasyonlu Duchenne musküler distrofinin (nmDMD) tedavisi için Translarna™ (ataluren)'nin koşullu pazarlama yetkilendirmesi için şirketin başvurusuna ilişkin olarak Avrupa İlaç Kurumunun (EMA) Beşeri Tıbbi Ürünler Komitesinin (CHMP) olumlu bir görüş benimsediğini bildirmiştir.

PTC Therapeutics, Inc. Şirketinin Kamu Sağlığı İdaresi Başkanı Robert J. Spiegel, M.D., “Biz, CHMP tarafından Translarna'nın pazarlama yetkilendirmesi başvurusunun (MAA) gözden geçirilmesinin sonuçları ve gözden geçirme süreci boyunca CHMP üyeleri ile yaşadığımız işbirliğinin düzeyinden çok memnunuz,” demiştir. “PTC Therapeutics'i pek çok Translarna'yı araştırma ve geliştirme yılı boyunca desteklemiş olan hastalara, ailelere, avukatlık gruplarına ve hekimlere minnettarız. Bu yolculuğun, PTC ve DMD topluluğu için yüksek öncelik arz eden nmDMD'de (ACT DMD) Phase 3 Translarna doğrulama deneyinin tamamlanmasına doğru devam ettiğini unutmamak önemlidir.”

California Üniversitesi Fizik Tedavi ve Rehabilitasyon Profesörü Dr. Craig McDonald, Duchenne musküler distrofide (nmDMD) öncelikli klinik uç nokta 6 dakikalık yürüme testini geliştirip buna geçerlik kazandıran Davis, “Bu, DMD topluluğu için tarihi bir gündür. Translarna, CHMP'den olumlu görüş alan, anlamsız mutasyonlu DMD'nin altında yatan neden için ilk tedavidir. Phase 2b klinik deneyi, Translarna'nın hastalığın ilerlemesini 6 dakikalık yürüme testi tarafından ölçüldüğü gibi göstermekte olduğuna dair güçlü bir kanıt sunmuştur. Yaşları beş ila üzeri olan hastalarda, plaseboya göre, 6 dakikalık yürüme mesafesinde klinik olarak 31.3 metre fayda elde edilmiş olup bu da çoklu sekonder etkinlik uç noktasındaki olumlu eğilim tarafından

desteklenmiştir. Ayrıca, 350 metre taban çizgili 6 dakikalık yürüme mesafesinden daha azına sahip bir grup önceden belirlenmiş hasta grubunda, plaseboya göre, günlük olarak verilen 40 mg/kg Translarna ile tedavi edilen hastalarda 68 metrelik bir fayda sağladığı gözlenmiştir. Bu olumlu görüşe dayalı olarak Avrupa Komisyonu tarafından verilecek koşullu bir onay Avrupa Birliği'ndeki nmDMD'li çocukların, PTC Therapeutics devam eden doğrulayıcı deneylerini tamamlarken, Translarna'ya erişimini sağlayacaktır.

CHMP görüşü, koşullu pazarlama yetkilendirmesini verip vermeyeceğine yönelik Avrupa Komisyonu (AK) kararının dayanağı olacaktır. Avrupa Komisyonu, CHMP'nin olumlu görüşünü gözden geçirecek olup genelde kendi nihai görüşünü üç ay içerisinde iletmektedir. Koşullu pazarlama yetkilendirmesi, şirketi, Translarna'yı Avrupa Ekonomik Alanı üyeleri olan İzlanda, Lihtenştayn ve Norveç ile birlikte 28 Avrupa Birliği Üye Devletinde pazarlamaya yetkili kılacaktır.

Birleşik Ebeveyn Musküler Distrofi Projesi (UPPMD) Başkanı Elizabeth Vroom, "PTC Therapeutics'i CHMP'nin bu işaret kararı dolayısıyla kutlarız" demiştir. Sonra, "PTC'yi topluluğa kendilerini adamalarından ve Translarna'yı hastalara mümkün olduğunca hızla sağlamak için düzenleyici opsiyonları takip etme ısrarlarını alkışlıyoruz. Şirketin öncü çalışması, yolu açarak bilim topluluğunu DMD için yeni terapiler geliştirmeye teşvik etmiştir," diye devam etmiştir. "EMA, bu durmaksızın ilerleyen hastalık için karşılanmamış yeni tedavi ihtiyacını fark ettikleri için takdir edilmelidir.

İtalya Aile Projesinin Başkanı ve UPPMD kurulu üyesi Filippo Buccella, "distrofin geninin keşfinden bu yana otuz yıl sonra, nihayet manzaradaki değişimi görmeye başlıyoruz. Duchenne'nin tarihinde ilk defa, DMD'nin altında yatan nedeni tedavi edecek bir ilacın onaylanmasına giden yolu görüyoruz. Bu olumlu sonuç, hastalarla klinisyenler arasındaki işbirliğine her zaman inanmış olan şirketin çabalarını ödüllendirmektedir. Bu topluluğun ısrarı Avrupa'da nmDMD hastası erkek çocuklar ümit verebilecek bir hayali gerçekleştirmeyi mümkün kılmıştır. Hasta topluluğu olarak bizim çalışmamız henüz bitmemiş olup bu sürecin sonraki aşamalarında PTC'nin ve ümit ederiz ki, Duchenne için yeni terapiler geliştiren pek çok diğer şirketin yanında olmaya hazır olacağız.

PTC, CHMP'nin 2014 yılı Ocak ayında alınmış olan olumsuz görüşünün yeniden incelenmesini talep etmiştir. Olumlu görüş, Translarna (günlük verilen 40 mg/kg) ile tedavi edilen nmDMD hastalarının taban çizgisinden 48'inci haftaya kadar olan altı dakikalık yürüme mesafesindeki (6MWD) değişim ile ölçüldüğü gibi, plasebo alan hastalardan ortalama 31.3 metre daha fazla yürüdüğünü gösteren 48 haftalık, 174 hastalı Phase 2b çift körlü, plasebo kontrollü deneyden sunulan verilere ve müteakip analizlere dayanmaktadır. Translarna alan hastalar aynı zamanda, 6MWD'de yüzde 10 kötüleşme zamanı analizine dayalı olarak, yürümede daha düşük bir düşme oranı göstermişlerdir. Güvenlik sonuçları Translarna'nın genelde iyi tolere edildiğini göstermiştir. Ciddi olumsuz vakalar nadiren olmuş ve bunların hiçbirisinin de Translarna ilişkili olduğu düşünülmemiştir. PTC'nin küresel Phase 3 ACT DMD klinik deneyi, 2014 ortalarında tam kaydedilme beklentisiyle sürmektedir.

PTC Therapeutics, Inc. Şirketinin CEO'su Stuart W. Peltz, Ph.D., "CHMP'nin anlamsız mutasyonlu Duchenne musküler distrofide Translarna'nın koşullu onayını öneren olumlu görüşü DMD topluluğu için önemli bir mihenk taşıdır ve biz anlamsız mutasyonlu DMD'li hastalar için Translarna'ya erişimi hızlandırmadaki bu ortaklaşa başarıdan gurur duymaktayız," demiştir. "DMD şu anda onaylı bir tedavi opsiyonu bulunmayan ilerlemekte olan bir hastalıktır. Daha önceden de ifade edildiği gibi, 2014 ortalarında küresel Phase 3 ACT DMD'mize tüm hastaları kaydettirmiş olmayı umuyoruz. Bu deneyin sonucu ABD'de olduğu kadar AB'de de tam onay almak için kritik önem arz eder. AK'nin nmDMD'de Translarna için bir koşullu pazarlama yetkilendirmesini onayladığını farz ederek, bugünün kararı, bu çabaya paralel olarak, bizim DMD'nin hak ettiği ölçüde hastaların Translarna'ya erişimini sağlayacağımız anlamına gelir."

Koşullu Onay Hakkında

Koşullu onay, henüz kapsamlı olmasa da, bir ilacın halihazırda mevcudiyetinin kamu sağlığına faydalarının risklerine ağır bastığını belirttiği, mevcut verilerdeki pozitif bir fayda/risk oranına dayalı olarak verilir. Şirkete AK tarafından ek çalışmaların performansı gibi yerine getirilmesi gereken yükümlülükler verilmiştir. Onay, tüm yükümlülükler yerine getirilene kadar yıllık olarak yenilenir ve daha sonra koşullu onaydan tam onaya dönüştürülür. Koşullu onaylar yalnızca, bir ilacın hiçbir tedavisinin olmadığı bir hastalık veya koşul için kullanımına yönelik olduğu anlamına gelen, karşılanmamış bir tıbbi ihtiyacı karşılayan ilaçlar için verilebilir ve hastaların

ilgili ilaca daha önce erişiminin olması önemlidir.

Translarna™ (ataluren) Hakkında

PTC Therapeutics, Inc. tarafından keşfedilen ve geliştirilen Translarna, bir anlamsız mutasyonun neden olduğu genetik bozukluklara sahip hastalarda fonksiyonel bir proteinin oluşumunu sağlaması için tasarlanan bir protein yenileme terapisi. Bir anlamsız mutasyon, temel bir proteinin sentezine prematüre bir şekilde engel olan genetik koddaki bir değişimdir. Ortaya çıkan bozukluk, Duchenne musküler distrofideki distrofin gibi, hangi proteinin kendi bütünlüğü içerisinde ifade edilemeyeceği ve daha fazla fonksiyonel olmadığı ile belirlenir. Translarna'nın gelişimi, Cystic Fibrosis Foundation Therapeutics Inc. (Sistik Fibroz Kurumunun kar amacı gütmeyen bağlı kuruluşu), Musküler Distrofi Kurumu, FDA'nın Yetim Ürünleri Geliştirme ofisi, Ulusal Araştırma Kaynakları Merkezi, Ulusal Kalp, Akciğer ve Kan Kurumu ve Musküler Distrofi Ebeveyn Projesi tarafından veriler ile desteklenmektedir.

Duchenne Musküler Distrofi (DMD) Hakkında

Öncelikle erkekleri etkileyen Duchenne musküler distrofi (DMD) fonksiyonel distrofin geni yetersizliğinden kaynaklanan ilerleyen bir kas bozukluğudur. Distrofin, iskelet, diyafram ve kalp kaslarının yapısal stabilitesi için kritik önem arz eder. DMD'li hastalar, bozukluğun şeklinin ciddiyeti arttıkça, 10 yaş gibi erken yaşlardan itibaren yürüme kabiliyetlerini kaybedip ergenliklerinin sonlarında ve yirmili yaşlarında hayati tehlike arz eden akciğer ve kalp komplikasyonları yaşarlar.

Anlamsız mutasyonun, Amerika Birleşik Devletleri'ndeki hastaların %13'ü veya yaklaşık olarak 2,000 hasta ve Avrupa Birliği'ndeki 2,500 hasta içerisinde DMD'nin sebebi olduğu tahmin edilmektedir. Musküler Distrofi Kurumu (www.mdausa.org), Musküler Distrofi Ebeveyn Projesi (www.parentprojectmd.org), Action Duchenne (www.actionduchenne.org), Birleşik Ebeveyn Musküler Distrofi Projesi (uppmd.org), Musküler Distrofi Kampanyası (www.muscular-dystrophy.org) ve AFM (l'Association française contre les myopathies), (www.afm-telethon.fr) sitelerinde DMD hakkında daha fazla bilgi mevcuttur.

PTC Therapeutics, Inc. Hakkında

PTC, transkripsiyonel sonrası kontrol süreçlerini hedefleyen, ağızdan uygulanan tescilli küçük molekül ilaçların keşfi ve geliştirilmesine odaklanan bir biyofarmasötik şirkettir.

Transkripsiyonel sonrası kontrol süreçleri, protein üretimi oranı ve zamanlamasını düzenler ve uygun hücrel fonksiyon için önemlidir. PTC'nin işletme içinde keşfedilen iletişim hattı, nadir bozukluklar, onkoloji ve bulaşıcı hastalıklar gibi çoklu teröpatik alanları işaret eder. PTC, ilaç keşfi faaliyetlerine ve önde gelen biyofarmasötik şirketlerle işbirliklerine uyguladığı tescilli teknolojiler geliştirmiştir. Şirket hakkında daha fazla bilgi için lütfen www.ptcbio.com web sitesini ziyaret ediniz.

Daha fazla bilgi için lütfen Jane Baj

+1 (908) 912-9167

jbaj@ptcbio.com

ile irtibata geçiniz.

İleriye Dönük İfadeler

Tarihi gerçekler dışındaki, bu basın bildirisinde yayınlanan geleceğe dönük beklentiler, planlar ve PTC'den beklentiler dahil tüm ifadeler, Translarna için koşullu pazarlama yetkilendirmesine ilişkin Avrupa Komisyonu tarafından yapılacak her türlü belirleme (olumlu veya olumsuz) dahil düzenleyici onayların zamanlaması, nmDMD hastası popülasyonu büyüklüğüne ilişkin tahminlerimiz dahil Translarna geliştirilmesi veya Translarna için potansiyel Pazar, Phase 3 klinik deneye kayıt zamanlaması dahil nmDMD'de Translarna için Phase 3 klinik deneyimiz, nmDMD'de Translarna için tam onay almak için gerekli olan yükümlülükleri yerine getirme kabiliyetimiz ve yönetim amaçlarımız hep ileriye dönük ifadelerdir. Diğer ileriye dönük ifadeler “ummak”, “inanmak”, “öngörmek”, “ümit etmek”, “amaçlamak”, “yapabilecek vb. olmak”, “planlamak”, “projelendirmek”, “hedeflemek”, “potansiyel”, “devam etmek” ve bunlara benzer kelimelerle ifade edilmiş olabilir.

Bizim asıl sonuçlarımız, performans ve başarılarımız, nmDMD'de Translarna için koşullu pazarlama yetkilendirmesine ilişkin Avrupa Komisyonu tarafından yapılacak her türlü belirleme dahil düzenleyici onaylara ilişkin beklentilerimiz, klinik deneylerin başlatılması ve yürütülmesi, klinik deneylerden elde edilecek verilerin mevcudiyeti, bilimsel yaklaşımımız ve genel gelişim

ilerlemesi, ürün adaylarımızın mevcudiyeti veya ticari potansiyeli, hekimler, hastalar ticari başarı için gerekli olan tıbbi topluluktaki diğer üçüncü taraf ödeyiciler ve ABD Menkul Kıymetler ve Borsalar Komisyonunda dosyaya girmiş olan, Form 10-Q'ye ilişkin en son Üç Aylık Raporumuzun "Risk Faktörleri" bölümünde tartışılan diğer faktörler dahil çeşitli risk ve belirsizlikler sonucu söylediğimiz ileriye dönük ifadelerden farklı olabilir. Sizden tüm bu faktörleri dikkatlice düşünmeniz istenmektedir. Ayrıca, bu basın bildirisinde bulunan geleceğe dönük ifadeler yalnızca bizim bu bildirin tarih itibarıyla görüşlerimizi temsil etmektedir. Sonraki olay ve gelişmelerin görüşlerimizi değiştireceğini tahmin etmekteyiz. Fakat PTC gelecekteki herhangi bir zamanda geleceğe dönük ifadeleri güncellemeyi tercih edebilecek olsa da, böyle bir yükümlülüğü özellikle reddetmekteyiz. Bu geleceğe dönük ifadelerin, bu basın bildirisinin tarihi sonrasındaki her türlü tarih itibarıyla PTC'nin görüşlerini temsil ettiği düşünülerek bu ifadelere bu şekilde güvenilmemelidir.