

PTC Therapeutics Nonsense Mutasyonlu Duchenne Musküler Distrofi'li Hastaların Tedavisinde Avrupa Birliği'nden Ataluren (Translarna™) için Şartlı Onay Almıştır

- Bu DMD için onaylanan ilk tedavidir

SOUTH PLAINFIELD, NJ —4 Ağustos 2014 – PTC Therapeutics, Inc. (NASDAQ: PTCT) 5 yaş ve üzerindeki ambulatuvar, Nonsense Mutasyonlu Duchenne Musküler Distrofi'li Hastaların Tedavisi için Avrupa Birliği ülkelerinde Avrupa Komisyonu'nun Translarna™(Ataluren) için Şartlı Pazar Onayı aldığını duyurmuştur.

PTC Therapeutics, Inc'nin CEO'su Ph. D Stuart W. Peltz: "Nonsense mutasyonlu Duchenne musküler distrofi tedavisinde Translarna'nın onay almasından memnuniyet duymaktayız. DMD'nin altında yatan nedenlerini hedef alarak, hastalığın gidişatını değiştirme şansımız var. Bu ürünün AB'deki tüm hastalara erişilebilir olması için hızlı bir şekilde hareket ediyoruz ve dünya çapında Translarna'dan yarar görebilecek tüm çocuklar için var gücümüzle çalışmaya devam ediyoruz. Yıllardır Translarna'nın araştırma ve geliştirilmesinde PTC Therapeutics'i destekleyen hasta, aile, dernek ve hekimlere şükranlarımızı sunuyoruz. DMD topluluğu çok uzun zamandır bu hastalık için tedavi seçeneklerini beklemektedir ve şartlı onayı aldığımız bu gün hepimiz için çok önemlidir. " diye belirtmiştir.

Bu onay 174 nmDMD hastasında 48 hafta süren, randomize, çift kör, çok merkezli çalışmanın güvenlik ve etkinlik sonuçlarına ve çalışma verilerinin geriye dönük analizlerine dayanarak verilmiştir.

Altı dakika boyunca yürünülen uzaklık değişim ölçümü ile Translarna'nın yürüyebilme üzerindeki etkisi incelenmiştir. İleri analizlerle çalışma öncesi tarama döneminden 48. Haftaya kadar, Translarna (3 ayrı dozda toplamda 40mg/kg/gün) kullanan hastaların 6 dakikalık yürüme uzaklığının ortalama 12,9 metre azaldığı, plasebo alan hastalarda ise bu azalmanın 44.1 metre olduğu gösterilmiştir.

Yani 6 dakikalık Yürüme Uzaklığında başlangıçtan 48 haftaya kadar olan dönemde gözlenen değişim plasebo (aktif ilacı almayan grup) grubuna göre Translarna grubunda 31.3 metre daha iyi olarak belirlenmiştir.

Bundan başka başlangıçta 6 dakikalık yürüme uzaklığı 350 metreden daha az olan, daha ağır hastalarda Translarna grubunda plasebo grubuna göre 68 metre daha iyi olduğu gözlenmiştir. Ayrıca Translarna grubundaki hastaların yürüme yetisinin daha yavaş ve uzun zamanda bozulduğu gösterilmiştir.

Avrupa İlaç Ajansının İnsan Kullanımı İçin İlaç Ürünleri Komitesi (CHMP) yorumuna göre , bu sonuçların Translarna kullanan nmDMD hastalarında yürüme yeteneği kaybını yavaşlattığını göstermiştir.

Ek olarak, geriye dönük analizler sonucunda, tedavi gören hastalarda, merdiven çıkma ve merdiven iniş fonksiyon testleri gibi ikincil testlerde de daha iyi sonuçlar gösterilmiş ve plaseboya karşılaştırıldığında bu grubun hastalık ilerleyişinin yavaşladığı belirlenmiştir.

Güvenlilik sonuçları ise Translarna'nın genellikle iyi tolere edildiğini göstermiştir. Ciddi yan etkiler sık gözlenmemekle birlikte hiçbir Translarna ile ilişkili bulunmamıştır. Önerilen dozlarda en sık gözlenen yan etki, mide bulantısı, kusma ve baş ağrısıdır. Bu yan etkiler genellikle tıbbi tedavi gerektirmemiş ve hiçbir hasta yan etkilere bağlı olarak tedaviyi sonlandırmamıştır.

Bu onay ile PTC, 28 Avrupa Birliği Üye ülkesinde ve Avrupa Ekonomik Bölge üyesi olan İzlanda, Lihtenştayn ve Norveç'te Translarna'yı pazara sunacaktır. Şartlı Pazar Onayının koşullarından biri ise PTC'nin nmDMD (ACT DMD) hastalarındaki doğrulayıcı, halen süregelen Faz 3 çalışmasını tamamlamak, çalışmadan çıkan ek yeterlilik ve güvenlik verilerini bildirmek zorunda olmasıdır. Türkiye de bu çalışmaya 15 hasta ile katılmaktadır. Bizim grubumuzda Irak, Hindistan ve Bulgaristan'dan da gelen hastalar mevcuttur. Çalışmanın içeriğinde 7 yaştan büyük olmak ve 6 dakika içinde en az 150 m yürüyor olmak

vardır. Bu grup için hasta alımı kapanmıřtır. Sonular ilacın yetkili kurullar tarafından gerek lisans iin deęerlendirilmesinde karar verdirici zellikte olacaktır.