

Etude de phase III : Evaluation de la sécurité d'emploi et de l'efficacité de la prise d'Ataluren (PTC124) chez des patients atteints de mucoviscidose et présentant une mutation non-sens.

(étude PTC)

Objectif :

Evaluer, chez les patients de plus de 6 ans porteurs d'au moins une mutation « stop » (ces mutations se terminent par un X), l'efficacité et la bonne tolérance sur le long terme du PTC 124. L'Ataluren permettrait d'éviter chez les patients l'arrêt de la fabrication du canal chlore.

Inclusions : à venir en cours terminées
Type d'étude : industriel (PTC Therapeutics) institutionnel
Etude : locale nationale internationale
Population concernée : Enfants Adultes

Durée de l'étude pour le patient: 1 an

Nombre d'inclusions à Lyon : 2 (objectif au niveau international : 230)

Résultats (mars2017) :

Le laboratoire PTC therapeutics a décidé de mettre fin prématurément à l'étude d'évaluation de l'efficacité de l'Ataluren chez les patients de plus de 6 ans atteints de mucoviscidose et porteurs d'au moins une mutation STOP (se terminant par X). Au niveau mondial 279 patients participaient à cette étude (4 à Lyon).

L'analyse après 48 semaines de traitement n'a pas permis de mettre en évidence de différences statistiquement significatives au niveau de l'amélioration du VEMS ou de la réduction du nombre d'exacerbations bronchiques entre les patients qui ont reçu le traitement et ceux ayant reçu le placebo.

