



ANUNCIO DE ENSAYO CLÍNICO

Estudio abierto para evaluar la seguridad y la farmacocinética de atalureno en niños de ≥ 6 meses a < 2 años de edad con distrofia muscular de Duchenne por mutación sin sentido

Hoy nos complace compartir información con usted sobre la oportunidad de participar en un ensayo clínico de distrofia muscular de Duchenne por mutación sin sentido (Nonsense Mutation Duchenne Muscular Dystrophy, nmDMD).

Las personas con nmDMD pueden participar en un estudio de fase 2. El objetivo principal del estudio es evaluar la seguridad y tolerabilidad de atalureno en varones de ≥ 6 meses a < 2 años de edad con nmDMD. El objetivo secundario es evaluar la farmacocinética.

Este estudio está diseñado para evaluar la seguridad y la farmacocinética de atalureno en participantes con nmDMD. El estudio incluirá una visita de selección de 4 semanas, 24 semanas de tratamiento con atalureno y una evaluación de seguimiento posterior al tratamiento de 4 semanas por un total de 6 visitas del estudio durante 28 semanas. A los sujetos que completen el período de tratamiento se les ofrece participar en un período de extensión de seguimiento durante al menos 52 semanas desde la fecha de la primera administración de atalureno en este estudio original.

Los criterios de elegibilidad son los siguientes:

- Participantes de sexo masculino de ≥ 6 meses a < 2 años de edad.
- Si el hermano de algún participante está inscrito en otro estudio de atalureno, debe estar recibiendo el fármaco del estudio de etiqueta abierta al momento de inscripción del participante en este estudio.
- Peso corporal de $\geq 7,5$ kg.
- Diagnóstico de DMD con documentación de la presencia de una mutación sin sentido del gen de la distrofina.
- Sin tratamiento previo con un fármaco en investigación, incluido atalureno, en los 3 meses anteriores a la visita de selección.

Para obtener más información sobre este estudio, comuníquese con:
medinfo@ptcbio.com
866-562-4620
Información adicional del estudio y centros participantes:

Estudio PTC-048-DMD

Los participantes del ensayo clínico recibirán un reembolso por los costos asociados con la participación. Comuníquese con el centro del estudio para obtener detalles.

PTC Therapeutics desea expresar su gratitud a todas las personas que hayan considerado participar en este estudio. PTC continúa su compromiso con la comunidad de distrofia muscular de Duchenne.

Consulte el estudio [PTC-048-DMD](#) para obtener más detalles sobre criterios de inclusión y exclusión específicos. No dude en ponerse en contacto para obtener más información sobre este estudio:
medinfo@ptcbio.com
866-562-4620