

Quelle: <http://www.muskelforschung.at/inhalt.php?kat=3&id=95>

Großstudie mit Ataluren vorzeitig abgebrochen

Das Medikament Ataluren (ursprünglich PTC124) wurde von den beiden Pharmaunternehmen PTC Therapeutics und Genzyme für bestimmte Erkrankungsformen von Duchenne und Becker entwickelt.

Die Einnahme von Ataluren ermöglicht, dass Muskelzellen bestimmte „Nonsense-Mutationen überlesen“, um in weiterer Folge das bei diesen beiden Muskelerkrankungen fehlende Dystrophin zu bilden.

Trotz guter Verträglichkeit konnte die erste Etappe dieser groß angelegten Studie leider nicht erreicht werden: Nach 48 Wochen Testphase konnte anlässlich eines sechsminütigen Gehtests bei den Studienteilnehmern entgegen aller Erwartungen keine Verbesserung in der Distanzbewältigung erreicht werden und die Studie musste vorläufig abgebrochen werden.

Die Forscher sind allerdings weiterhin zuversichtlich und erwarten sich nach vollständiger Auswertung der Daten weitere Informationen, um geeignete Therapieansätze Erfolge zu entwickeln.

Siehe auch Seite der FDA: <http://clinicaltrial.gov/ct2/results?term=PTC124>