

PTC-THERAPEUTIKA KÜNDIGT ZUSÄTZLICHE STUDIE VON ATALUREN IN PATIENTEN MIT ERWEITERTEN UNSINN MUTATION DUCHENNE/BECKER MUSKELDYSTROPHIE

-Studie durch einen Zuschuss aus Muscular Dystrophie Association-teilweise finanziert

Süden PLAINFIELD, New Jersey – 19 Januar 2010 – PTC Therapeutics, Inc. (PTC) kündigte heute die Einleitung von eine zusätzliche klinischen der Ataluren (PTC124[®]) in Buben und junge Männer mit Unsinn Mutation Duchenne/Becker-Muskeldystrophie (NmDBMD), die dauerhaft die Möglichkeit, die unabhängig voneinander gehen verloren haben. Diese Testversion ist auswerten, die besten Methoden zur Messung der funktionaler Fähigkeiten bei Patienten, die unabhängige Mobilität verloren haben. Patienten mit NmDBMD entwickeln progressive Musculus Schwäche, die eine Verschlechterung des Ambulation, Rollstuhl Abhängigkeit, progressive Verlust der oberen Gliedmaßen Stärke und eventuelle Atemwege und cardiac Scheitern führt. Die Studie, die voraussichtlich Registrierung schnell abzuschließen, wird wird teilweise durch einen \$ 1 Million Zuschuss aus dem Verband Muscular Dystrophie finanziert wird, und des MDA fünf-Center DMD Clinical Research Network und eine Site in Großbritannien.

„ Angesichts den unerbittlich progressiven Kurs DBMD und ihre Auswirkungen auf mehrere Orgel-Systemen, glauben wir Patienten in allen Phasen der Krankheit therapeutische Interventionen profitieren könnten. Diese Testversion ist ein wichtiger Schritt zu verstehen, die besten Methoden für die Bewertung neuer klinischer Behandlungen für diese jungen und junge Männer,“ erklärte Langdon Miller, m.d., Chief Medical Officer bei PTC.

"Der Muscular Dystrophie Verein ist stolz darauf, bieten 1 Mio. US-Dollar in die Finanzierung auf die bahnbrechende Studie in DBMD-Patienten, die die Möglichkeit, zu Fuß, verloren haben", sagte Valerie Cwik, m.d., Executive Vice President – Forschung und medizinische Director, Muscular Dystrophie Association. "Diese Studie unterstreicht die Bedeutung des MDA translatorischen Forschungsanstrengungen. Im April 2005 ausgezeichnet MDA eine anfängliche 1,5 Millionen US-Dollar-Grant, PTC zur Unterstützung der frühen klinische Entwicklung der Ataluren in NmDBMD. Jetzt haben wir eine Testversion, die auf älteren DBMD jungen wertvollen Informationen bietet und junge Männer, die in die Gestaltung des künftigen klinischen Studien unterstützen wird."

Dieser ein-Jahres, Phase, die die Sicherheit, pharmakodynamischen Aktivität und Pharmakokinetik Ataluren, Investigatives neues Medikament, während die Verwendung von mehreren Ergebnis Maßnahmen der physischen, Lungen-, Beurteilung und cardiac Funktion bei Patienten mit erweiterter Krankheit 2a Studie beurteilt wird. Ca. 30 Patienten sind in der Testversion an fünf Standorten in den USA, die Bestandteil der MDA DMD Forschungsnetzwerk sind, und an einem Standort in Großbritannien eingeschrieben werden. Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auf <http://clinicaltrials.gov>.

"Wir eifrig zur Teilnahme an dieser innovativen Studie von nicht-Ambulatory DMD Patienten, sind", erklärt John W. Day, m.d., Ph.d., Hauptprüfer Paul und Sheila Wellstone Muscular Dystrophie Center der University of Minnesota. "Dieser Präzedenzfall-Testversion ist eine wichtige Erweiterung der aktuellen Untersuchungen der jüngeren, ambulante jungen mit DMD und hilft definieren Methoden für die Beurteilung Herz, Lunge und Muskel-Funktion bei Patienten mit fortgeschrittenen Krankheit wie wir alle weiter daran arbeiten, progressiven und schwächenden Auswirkungen auf alle betroffenen Personen anzuhalten."

PTC im Februar 2009 angekündigt, dass Sie die Registrierung einer Registrierung-gesteuerter, klinischen Studie bei Patienten mit Unsinn Mutation Duchenne und Becker-Muskeldystrophie abgeschlossen hat. Die Testversion ist eine Multi-center, randomisierte Doppelblind, Placebo-kontrollierten Studie um festzustellen, ob Ataluren walking, Aktivität, Muscle-Funktion und Stärke verbessern kann und ob die Droge sicher für eine längere Zeit gegeben werden kann. Ergebnisse aus dieser Studie werden voraussichtlich in der ersten Jahreshälfte 2010 verfügbar sein.

ÜBER DUCHENNE / BECKER MUSKELDYSTROPHIE

Duchenne und Becker Muskeldystrophie (DBMD) sind progressive, schwächenden und lebensbedrohliche genetische Erkrankungen, die, die ein einzelnes Krankheit-Kontinuum mit der gleichen zugrunde liegende Ursache darstellt. Patienten mit DBMD produzieren nicht angemessene Maß Dystrophin, eine wesentliche Protein, der für die strukturelle Stabilität der skeletal wichtig ist und heart Muskeln. DMD ist die am häufigsten verwendeten und schwersten Form der Muskeldystrophie bei Kindern, und weltweit ca. 20.000 Kinder werden mit DMD jährlich (eines jeden 3.500 männlichen Kinder) geboren. Patienten mit KNOCHENMINERALDICHTHE in der Regel treten ersten Symptome später und eine langsamere Fortschreiten der Krankheit haben. Unsinn Mutationen führen etwa 10 bis 15 Prozent aller DBMD-Fälle eine geschätzte 1.900 führt Buben und junge Männer mit Unsinn Mutation DBMD in den USA. Weitere Informationen zum DBMD ist über die Muscular Dystrophie Association (www.mda.org) oder übergeordneten Projekt Muscular Dystrophie (www.parentprojectmd.org) zur Verfügung stehen.

ÜBER ATALUREN (PTC124[®])

Ataluren ist die erste Investigatives neue Droge entwickelt, um die Produktion eines funktionierenden Proteins bei Patienten mit genetischen Störungen aufgrund von eine Mutation Unsinn wiederherstellen. Eine Mutation Unsinn ist eine Änderung in den genetischen Code, der vorzeitig die Synthese von einer wesentlichen Protein, wie z. B. Dystrophin bei der NmDBMD anhält. Ataluren ist derzeit für die Verwendung bei Patienten mit Unsinn Mutation Duchenne und Becker Muskeldystrophie (NmDBMD), Unsinn Mutation zystischer Fibrose (NmCF) und Unsinn Mutation Hemophilia untersucht werden A und B (NmHA/NmHB). Ataluren wurde durch die U.S. Food and Drug Administration (FDA) und die Europäische Kommission Orphan-Drug-Status-Status für die Behandlung von NmDBMD und NmCF erteilt. Die FDA hat auch Ataluren Abschnitt E und Fast Track für die beschleunigte Entwicklung, Bewertung und Marketing erteilt. Die Entwicklung der Ataluren wurde von der FDA-Büro des Orphan-Produkte-Entwicklung, der Muscular Dystrophie Association,

übergeordneten Projekt Muscular Dystrophie, Cystic Fibrosis Foundation Therapeutics Inc. (die gemeinnützige Affiliate der Cystic Fibrosis Foundation) und des National Center for Research Resources unterstützt.

ZUSAMMENARBEIT MIT GENZYME

PTC Therapeutics hat eine exklusive Zusammenarbeit mit Genzyme Corporation für die Entwicklung und Kommerzialisierung von Ataluren. PTC Therapeutics kommerzialisieren Ataluren in den USA und Kanada, während Genzyme wird das Produkt in anderen Regionen der Welt kommerzialisieren.

ÜBER DIE ZUORDNUNG MUSKELDYSTROPHIE

1950 Gegründet, die Muscular Dystrophie Association ist der Nation größten nicht-staatliche dann der Forschung Suche nach Behandlungen und Gegenmittel für mehr als 40 Neuromuskuläre Krankheiten, einschließlich Muskeldystrophie, amyotrophe Laterale Sklerose (ALS) ", „" Spinale muscular Atrophy (SMA) ", „" Charcot-Marie-Tooth-Krankheit (CMT) "und „" Friedreich Ataxie (FA).

Die erste gemeinnützige Organisation mit einem Lifetime Achievement Award von the American Medical Association ("für erhebliche und anhaltende Beiträge für die Gesundheit und Wohlergehen der Menschheit"), erkannt werden MDA bietet auch eine einzigartige Gesundheitsversorgung durch Ihr Netzwerk von mehr als 200 Krankenhaus angegliedert Kliniken services; befürwortet für die Familien, er dient; und investiert erhebliche Ressourcen, die Erziehung der medizinischen und wissenschaftlichen Gemeinschaften, ebenso wie die Öffentlichkeit über Neuromuskuläre Krankheiten, die Auswirkungen auf mehr als 1 Millionen Amerikaner.

Dank ist Jahrzehnte der großzügige Beiträge aus fürsorglichen Personen plus herausragenden Support von lokalen, regionalen und nationalen Sponsoren erhalten MDA für Ihre Rolle beim Aufbau von dem gesamten Gebiet der Neuromuskuläre Krankheiten Forschung, während gleichzeitig pflegende klinischen Betreuung bedeutend verbessern der Qualität und Länge der Leben für die betroffenen durch Neuromuskuläre Krankheiten gutgeschrieben.

ÜBER PTC-THERAPEUTIKA

PTC ist ein biopharmazeutisches Unternehmen, die konzentriert sich auf die Entdeckung, Entwicklung und Kommerzialisierung von mündlich administrierten kleine-Molekül-Drogen, die Posttranskriptionale Steuerelement Prozesse abzielen. Posttranskriptionale Steuerelement Prozesse regulieren die Rate und das Timing der Protein-Produktion und sind von zentraler Bedeutung, ordnungsgemäße Mobilfunk-Funktion. Von PTC entdeckt Pipeline Adressen intern mehrere therapeutische Gebieten, einschließlich genetische Erkrankungen, Onkologie und Infektionskrankheiten. PTC hat proprietäre Technologien, der es seine Droge Discovery-Aktivitäten

angewendet wird, für entwickelt und sind die Grundlage für die Zusammenarbeit mit führenden biopharmazeutisches Unternehmen wie z. B. Celgene, Genzyme, Gilead, Merck, Pfizer und Roche. Weitere Informationen finden Sie auf die Unternehmens-Website unter www.ptcbio.com.

WEITERE INFORMATIONEN: INVESTOREN UND MEDIEN

Jane Baj Sheryl Seapy Jim Brown

PTC Therapeutics, Inc. Reine Communications Muscular Dystrophie Association

(908) 912-9167 (949) 608-0841 (520) 529-5320

jbaj@ptcbio.comSheryl@purecommunicationsinc.comjbrown@mdausa.org

PATIENTEN, PATIENTEN-FAMILIEN, ERMITTLERN UND PATIENTENORGANISATIONEN

Diane Goetz

PTC Therapeutics, Inc.

(908) 912-9256

patientinfo@ptcbio.com