IN „*MUSCLE AND NERVE* “VERÖFFENTLICHTE DATEN VALIDIEREN DEN SECHS-MINUTE WALK TEST ALS EIN ERGEBNIS FÜR DUCHENNE MUSKELDYSTROPHIE

Süd-PLAINFIELD, New Jersey – Dezember 8, 2009 – Data veröffentlicht online in der medizinischen Erfassung Muscle und Nerve unterstützen die Verwendung der sechs Minuten zu Fuß-Prüfung (6MWT) als ein Ergebnis Maßnahme in PTC Therapeutics, Inc. laufenden Registrierung-gesteuerte klinischen Studie der Ataluren bei Patienten mit Unsinn Mutation Duchenne/Becker-Muskeldystrophie (NmDMD/KNOCHENMINERALDICHTE). Die Ergebnisse der Studie, die auch in einer kommenden drucken Ausgabe der Zeitschrift veröffentlicht werden soll, charakterisieren die Beschränkungen zu Fuß von Patienten mit DMD relativ zum gesunden jungen und anzugeben, dass junge Burschen konsistent und zuverlässig den Test durchführen können. Die Daten wurden entnommen eine beobachtende Studie an der University of California-Davis, gesponsert von PTC und durch einen Zuschuss aus übergeordneten Projekt Muscular Dystrophie (PPMD) unterstützt wurde.

Die 6MWT ist eine akzeptierte und standardisierte Maßnahme der Muskeln, Lunge und Herzen Gesundheit bei Patienten mit anderen medizinischen Bedingungen. Allerdings wurde der Test nicht zuvor verwendet jungen mit DMD zu bewerten. Die beobachtende Studie wurde entwickelt, um zu bestätigen, dass jungen mit DMD die Ausdauer hätte und Fokus, um erfolgreich erforderlich und konsequent die Prüfung ohne Schädigung abgeschlossen.

"Die Validierung von klinisch sinnvolle Endpunkte für die therapeutische und natürliche Geschichte Studien in DMD heraufgestuft hat ein Schwerpunkt der die Duchenne klinische und Fürsprache Gemeinden seit vielen Jahren," sagte Craig McDonald, m.d., Hauptprüfer der beobachtende Studie und Direktor der Rehabilitation Research und Schulungszentrum in Neuromuskuläre Krankheiten, University of California, Davis. „ Die Veröffentlichung dieser Ergebnisse zeigt, dass die 6MWT als klinisch sinnvolle Ergebnis Maßnahme zur Dokumentation von der Entwicklung der Krankheit und die Behandlung Vorteile neuer Therapien für DMD dienen kann. Der neue Test hat sich schnell die favorisierte primären Ergebnis Maßnahme in klinischen Studien in ambulanten jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie weltweit entwickelt. Dies ist eine spannende Augenblick für alle von uns beteiligt die Betreuung von jungen mit dieser Bedingung schrittweise deaktivieren. „

Die Studie wurde entwickelt, um die Machbarkeit, Sicherheit und Reproduzierbarkeit der 6MWT, Vergleich von jungen mit DMD um gesunde Jungs die gleichen Alters zu bewerten. Die Studie ausgewertet 21 Chorumgang jungen mit DMD und 34 gesunde jungen, Alter von vier bis 12 Jahre alt. Jungen mit DMD zweimal getestet wurden, eine Woche auseinander und gesunde jungen wurden getestet einmal. Diese Studie gezeigt, dass Chorumgang jungen die 6MWT sicher und konsequent durchführen können.

"PPMD ist stolz darauf, die Forschung gefördert haben, der die Grundlage für die Entwicklung von Drogen in DMD festlegt. Die Validierung von der 6MWT als eine klinische Endpunkt hat erhebliche Auswirkungen für die Gemeinschaft DMD", erklärt Patricia Furlong, Gründer-Präsident & CEO von übergeordneten Projekt Muscular Dystrophie. "Die Möglichkeit, die Wirksamkeit der potenziellen DMD Behandlungen studieren wird erleichtern die Weiterentwicklung neuer Therapien und letztendlich profitieren Patienten. Ein wichtiger Bestandteil, was wir auf PPMD tun soll helfen, universellen Standards für jungen und junge Männer mit DMD festzulegen. Es ist besonders erfreulich, einen validierten klinischen Endpunkt um die Entwicklung der therapeutische Optionen zu erweitern. „

Die Studie ergab, dass jungen mit DMD zutiefst kürzere Entfernungen in sechs Minuten als gesund jungen aufgrund von die muskulös Defizite, die typischen Merkmale der DMD ging, einschließlich deutlich reduzierte Stride-Länge sind. Die Feststellungen auch vorschlagen, dass die 6MWT hoch reproduzierbar, ist wie durch ein hohes Maß an Korrelation belegt (R = 0,91) zwischen der ersten und zweiten Test in jungen mit DMD. Diese Feststellungen unterstützt direkt die Verwendung von 6MWT in der PTC laufenden Phase 2 b, Double-Blind, zufallsgenerierten Testversion von Ataluren in jungen mit NmDMD/KNOCHENMINERALDICHTE, für die die 6MWT die primäre Ergebnis Maßnahme ist. Die Testversion wurde entwickelt, um festzustellen, ob Ataluren oral eingenommen walking verbessern kann, Muscle-Funktion und Stärke bei Patienten mit NmDMD/KNOCHENMINERALDICHTE und wird auch der Ataluren langfristige Sicherheit Profil bewerten.

"Wir sind ermutigt, dass Vorbehandeln Daten aus 174 Jungs, die Teilnahme an unserer entscheidende Phase-2 b-Studie der Ataluren mit den beobachtende Daten konsistent sind, und zeigen, dass die 6MWT sicher und reproduzierbar, wenn wiederholt an mehreren Testversion Standorten in vielen verschiedenen Ländern durchgeführt ist", sagte Langdon Miller, m.d., Chief Medical Officer von PTC. "Wir freuen uns auf die Daten aus der Ataluren klinischen Prüfung in NmDMD/KNOCHENMINERALDICHTE Patienten in Anfang 2010 freigeben."
ÜBER DMD/KNOCHENMINERALDICHTE Duchenne und Becker Muskeldystrophie (DMD/KNOCHENMINERALDICHTE) sind Sie progressive Musculus Störungen, die zum Verlust der Muscle-Funktion und Unabhängigkeit führen. Patienten mit DMD/KNOCHENMINERALDICHTE haben zunehmende Probleme mit walking Fortschreiten der Krankheit und schließlich von unterstützende Geräte zu Mobilität

abhängen müssen. DMD/KNOCHENMINERALDICHTE ist vielleicht die am häufigsten Form der Muskelerkrankungen-Dystrophies und ist die am häufigsten verwendeten tödliche genetischen Störung in der Kindheit heute diagnostiziert. Jedes Jahr werden weltweit ca. 20.000 Kinder mit DMD (eines jeden 3.500 männlichen Kinder) geboren. Es wird geschätzt, dass einem in zehn DMD Patienten dürfte eine Becker-Präsentation, eine milder Form der Krankheit zu haben, die später Manifestation der Symptome zugeordnet ist. Weitere Informationen zu DMD und KNOCHENMINERALDICHTE ist über der Muscular Dystrophie Association (www.mdausa.org) und das übergeordnete Projekt Muscular Dystrophie (www.parentprojectmd.org) verfügbar.

ÜBER ATALUREN (PTC124 ®)
Ataluren ist die erste Investigatives neue Droge entwickelt, um die Bildung 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 anhält. Ataluren ist derzeit für die Verwendung bei Patienten mit NmDMD/KNOCHENMINERALDICHTE, Unsinn Mutation zystischer Fibrose (NmCF) und Unsinn Mutation Hemophilia untersucht werden A und B (NmHA/HB).

Ataluren wurde durch die U.S. Food and Drug Administration (FDA) und die Europäische Kommission Orphan-Drug-Status-Status für die Behandlung von NmCF und NmDMD/KNOCHENMINERALDICHTE erteilt. Die FDA hat auch Ataluren Abschnitt E für die beschleunigte Entwicklung, Bewertung und Marketing erteilt. Die Entwicklung der Ataluren wurde von Cystic Fibrosis Foundation Therapeutics Inc. (die gemeinnützige Affiliate der Cystic Fibrosis Foundation), der FDA-Office der Orphan-Produkte-Entwicklung, der Vereinigung Muscular Dystrophie übergeordneten Projekt Muscular Dystrophie 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 kommerzialisieren Ataluren in den USA und Kanada, während Genzyme wird das Produkt in anderen Regionen der Welt kommerzialisieren.

ÜBER PTC-THERAPEUTIKA
PTC ist ein biopharmazeutisches Unternehmen, die konzentriert sich auf die Entdeckung, Entwicklung und Kommerzialisierung von mündlich administrierten, proprietären, 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, die es gilt in seiner Droge Discovery-Aktivitäten und, sind die Grundlage für die Zusammenarbeit mit führenden biopharmazeutisches Unternehmen wie z. B. Celgene, Genzyme, Gilead, Merck, Pfizer und Roche, proprietäre Technologien entwickelt. Weitere Informationen finden Sie auf die Unternehmens-Website unter www.ptcbio.com.

WEITERE INFORMATIONEN: INVESTOREN UND MEDIEN
Jane Baj Sheryl Seapy
PTC Therapeutics, Inc. Reine Communications
(908) 912-9167 (949) 608-0841
jbaj@ptcbio.comSheryl@purecommunicationsinc.com