PTC Therapeutics startet Phase 2-Studie DER ATALUREN (PTC124®) Bei Patienten mit Hämophilie

- Erste potenzielle orale Therapie bei Hämophilie --

- Dritter Proof-of-Concept-Indikation für ataluren --

PTC Therapeutics startet Phase 2-Studie DER ATALUREN (PTC124®) Bei Patienten mit Hämophilie

- Erste potenzielle orale Therapie bei Hämophilie --

- Dritter Proof-of-Concept-Indikation für ataluren --

South Plainfield, NJ - 26. Oktober 2009 -- PTC Therapeutics, Inc. (PTC) gab heute bekannt, es baut die Entwicklung der ataluren, ein in der Erforschung neuer Arzneimittel, zu einem Drittel mit Angabe über die Einleitung einer klinischen Studie der Phase 2a in Nonsense-Mutation Hämophilie A (NMHA) und Hämophilie B (nmHB) . Hämophilie ist eine seltene und schwächende genetische Erkrankung, führt zum Verlust von Gerinnungs-Blot-Proteine und kann zu schweren, wiederkehrende Blutungen führen. Es wird geschätzt, dass Nonsense-Mutationen für etwa 10 Konto auf 30 Prozent aller Fälle der Hämophilie.

Der Zweck dieser multizentrischen, Open-Label-Studie ist die Tätigkeit, die Sicherheit zu bewerten und Pharmakokinetik von ataluren in ungefähr 24 erwachsene männliche Patienten mit NMHA oder nmHB. Das primäre Ziel der Studie, die besteht aus zwei 14-Tage-Behandlungen an zwei verschiedenen Dosierungen ist zu bestimmen, ob ataluren sicher steigern können Factor VIII (FVIII) und Faktor IX (FIX) Aktivität.

"Wir sind über die Einleitung dieser Proof-of-Concept-Studie der ataluren bei Patienten mit Hämophilie Nonsense-Mutation, eine schwere Form der Erkrankung mit einer großen Nachfrage nach alternativen Behandlungsmöglichkeiten sind begeistert", sagte Langdon Miller, MD, Chief Medical Officer von PTC Therapeutics. "Die Daten aus dieser Studie werden in den die wachsende Menge an Daten, die wir zusammentragen, mit unseren laufenden Studien in Duchenne / Becker Muskeldystrophie und zystische Fibrose."

Patienten mit Hämophilie A und B keine angemessenen Ebenen der FVIII oder FIX Proteine durch Mutationen in den genetischen Code. Der Mangel an FVIII und FIX Proteine führt zu unsachgemäßer Blutgerinnung und starke Blutungen. In NMHA und nmHB, eine Unterbrechung in den genetischen Code - als eine Nonsense-Mutation- vorzeitig unterbricht die Synthese von FVIII und FIX, was das Protein zu kurz und nicht funktioniert. Ein genetischer Test ist erforderlich, um festzustellen, ob ein Patient Erkrankung, die durch eine Nonsense-Mutation verursacht wird. Patienten mit NMHA oder nmHB in der Regel nur wenig oder keine funktionellen FVIII oder FIX (weniger als ein Prozent der normalen Plasmaspiegel) und Erfahrungen schwerere Symptome als Patienten, deren Erkrankung durch andere Mutationen verursacht. So niedrigem Niveau kann zu spontanen Blutungen, die zu Zerstörung der Gelenke, Schäden an anderen Geweben und ein erhöhtes Risiko für intrakranielle Blutung oder Blutung im Gehirn, die schweren neurologischen Symptomen, einschließlich Schlaganfall verursachen können. Aktuelle Therapien erfordern wiederholte, häufige intravenöse Infusionen zu halten FVIII oder FIX Ebenen. Ataluren oral verabreicht wurde entwickelt, um die Ursache der NMHA nmHB und durch die Förderung der Wiederherstellung der funktionellen FVIII und FIX enzymatische Protein-Adresse.

"Wir sind sehr erfreut, Teil dieser bahnbrechenden Studie", sagte Kathy High, MD, Principal Investigator am Children's Hospital of Philadelphia. "HA und HB chronisch sind, außer Betrieb gesetzt und potenziell lebensbedrohliche genetische Störungen, und es besteht ein erheblicher Bedarf an neuen Strategien zur Verhinderung von Blutungskomplikationen. Bei Patienten mit Hämophilie Nonsense-Mutation, auch ein geringer Anstieg der FVIII oder FIX könnte sehr nützlich sein. Als orale Therapie, ataluren hat das Potenzial, eine nicht invasive Behandlungsoption zur Verfügung stellen. "

"Das Proof-of-Concept-Studie in einer dritten Indikation stellt einen wichtigen Schritt vorwärts in der Entwicklung von ataluren als mögliche Behandlung für Nonsense-Mutation genetische Erkrankungen", sagte Stuart W. Peltz, Ph.D., President und CEO von PTC Therapeutics . "Wir sind durch die klinische Progression von ataluren aufgeregt. Wir kürzlich eine Zulassungsstudie in Nonsense-Mutation Mukoviszidose und erwarten, dass der Zulassungsstudie in Nonsense-Mutation Duchenne-und Becker-Muskeldystrophie bis Ende des Jahres mit

den erwarteten Ergebnissen abgeschlossen werden noch bekannt gegeben in der ersten Hälfte des Jahres 2010.
"

Über Hämophilie
Hämophilie ist eine vererbte genetische Erkrankung, die Blutungsstörungen mit längeren Blutungen als normal. Es tritt auf, wenn eines der Proteine erforderlich sind, um die Bildung von Blutgerinnseln Form fehlt oder reduziert. Es gibt zwei Arten von Hämophilie, Hämophilie A (HA) und Hämophilie B (HB). HA Ergebnisse von Faktor-VIII-Mangel, und HB Ergebnisse von Faktor IX-Mangel. Nach Angaben des National Hemophilia Foundation, HA die häufigste Form der Hämophilie und betrifft etwa 18.000 Männer in den USA, während HB rund 3.300 Männer in den USA und die weltweite Häufigkeit von Hämophilie leiden wird auf mehr als 400.000 Menschen geschätzt. In etwa einem Drittel der Hämophilie Fällen gibt es keine Familie Geschichte der Störung und stattdessen ist die Bedingung durch eine spontane Genmutation verursacht. Etwa 10 bis 30 Prozent aller Patienten mit Hämophilie haben die Krankheit auf eine Nonsense-Mutation. Mehr Informationen über Hämophilie wird durch die National Hemophilia Foundation zur Verfügung (www.hemophilia.org).

ÜBER ATALUREN (PTC124®)
Ataluren, ein oral verabreichten kleiner Moleküle, ist der erste experimentelle neue Arzneimittel entwickelt, um die Bildung einer funktionierenden Proteins bei Patienten mit genetisch bedingten Erkrankungen aufgrund einer Nonsense-Mutation wiederherstellen. Eine Nonsense-Mutation ist eine Veränderung im genetischen Code, stoppt vorzeitig die Synthese eines Proteins wichtig. Ataluren ist derzeit für den Einsatz bei Patienten mit zystischer Fibrose Nonsense-Mutation (NMCF) und Nonsense-Mutation Duchenne und Becker Muskeldystrophie (nmDMD / BMD) untersucht. Ataluren hat bereits den Orphan-Drug-Status für die Behandlung von NMCF und nmDMD / BMD von der US Food and Drug Administration (FDA) und der Europäischen Kommission. Die FDA erteilte zudem ataluren Abschnitt E Bezeichnung für beschleunigten Entwicklung, Bewertung und Vermarktung. Die Entwicklung der ataluren wurde von der Cystic Fibrosis Foundation Therapeutics Inc. unterstützt (die gemeinnützige Tochtergesellschaft der Cystic Fibrosis Foundation), dem FDA Office of Orphan Products Development, der Gesellschaft für Muskeldystrophie, Parent Project Muscular Dystrophy, und das National Center for Research Ressourcen.

ZUSAMMENARBEIT MIT GENZYME
PTC Therapeutics hat eine exklusive Zusammenarbeit mit Genzyme Corporation für die Entwicklung und Vermarktung von ataluren. PTC Therapeutics in den Vereinigten Staaten und Kanada ataluren zu vermarkten, während Genzyme das Produkt in anderen Regionen der Welt wird zu vermarkten.

ÜBER PTC Therapeutics
PTC ist ein biopharmazeutisches Unternehmen, das auf die Entdeckung, Entwicklung und Vermarktung von oralen Medikamente konzentriert, die auf post-transcriptional Kontrollprozesse. Posttranskriptionale Kontrollprozesse regulieren die Geschwindigkeit und den Zeitpunkt der Proteinproduktion und sind von zentraler Bedeutung für korrekte zelluläre Funktion. PTC intern entdeckt Pipeline-Adressen mehreren therapeutischen Gebieten, darunter genetische Erkrankungen, Onkologie und Infektionskrankheiten. PTC hat proprietäre Technologien, die es gilt in der Medikamentenentdeckung und sind die Basis für eine Zusammenarbeit mit führenden biopharmazeutischen Unternehmen wie Celgene, Genzyme, Gilead, Pfizer, Roche und Schering-Plough entwickelt. Für weitere Informationen, besuchen Sie die Unternehmens-Website unter www.ptcbio.com.

FÜR WEITERE INFORMATIONEN:
Investoren und Medien
Jane Baj
PTC Therapeutics, Inc.
(908) 912-9167
jbaj@ptcbio.com

Sheryl Seapy
Pure Communications
(949) 608-0841
sheryl@purecommunicationsinc.com

Patienten, Angehörige der Patienten,
Ermittler und Patientenorganisationen
Diane Goetz
PTC Therapeutics, Inc.
(908) 912-9256
patientinfo@ptcbio.com