

# **PTC-THERAPEUTIKA UND GENZYME CORPORATION KÜNDIGEN VORLÄUFIGE ERGEBNISSE DER PHASE 2 B KLINISCHE STUDIE DER ATALUREN FÜR UNSINN MUTATION DUCHENNE/BECKER MUSKELDYSTROPHIE**

**Süd-PLAINFIELD, NJ und CAMBRIDGE, MA – 03 März 2010** – PTC Therapeutics, Inc. und Genzyme Corporation (Nasdaq: GENZ) kündigte heute vorläufige Ergebnisse aus der Phase 2 b klinischen Prüfung des Ataluren, ein Investigatives neue Medikament, bei Patienten mit Unsinn Mutation Duchenne/Becker Muscular Dystrophie (NmDBMD). Der primäre Endpunkt der Änderung 6-Gehminuten Entfernung nicht erreichen Sie in statistische Signifikanz innerhalb der 48 Woche Dauer der Untersuchung. Studienergebnisse zeigte, dass Ataluren gut vertragen wurde und keine clinical trial Patienten Behandlung aufgrund eines nachteiligen Ereignisses eingestellt. Zusätzliche Wirksamkeit Analysen laufen in Patienten Untergruppen.

"Diese Ergebnisse weiter demonstrieren das Sicherheit-Profil der Ataluren und anhaltende Entwicklung unterstützen" bemerkte Langdon Miller, m.d., chief medical Officer von PTC. „ DBMD ist eine progressive, schwächenden und lebensbedrohliche Neuromuskuläre Störung. Die Variabilität der Symptom Onset, Fortschreiten der Krankheit und 6-Gehminuten Entfernung erstellt Herausforderungen für klinische Entwicklung. Was noch wichtiger ist, bietet diese Studie eine Fülle an wertvollen Daten über Ataluren und DBMD. Zusätzliche Analysen werden den insgesamt klinischen und behördlichen Pfad nach vorn leiten."

"PTC hat eine langjährige Verpflichtung zur Entdeckung und Entwicklung neue Behandlungen für DBMD und wir werden weiterhin für die Zusammenarbeit mit Patienten, Ermittlern und DBMD Fürsprache Gruppen, um diese Bemühungen voranzubringen" erklärte Stuart Peltz, Ph.d., President und Chief Executive Officer von PTC Therapeutics. "Daten aus dieser Phase 2 b-Studie werden weitere Entwicklung der Ataluren in Unsinn Mutation genetische Erkrankungen leiten."

„ Die Qualität der Daten aus dieser well-conducted Studie und zusätzliche Analysen helfen wird, um die klinische Entwicklung der Ataluren in andere Indikationen zu informieren, „ erklärte Geoffrey McDonough, m.d., senior Vice President und general Manager von Genetische Krankheiten bei Genzyme. "Wir sind entschlossen, die Entwicklung der Ataluren und weiterhin für die Zusammenarbeit mit PTC um seine Entwicklung für die Behandlung von genetischen Störungen zu fördern. „

Ataluren ist auch derzeit untersucht werden, für die Verwendung bei Patienten mit Unsinn Mutation zystischer Fibrose in einer Phase-3-Studie und Unsinn Mutation-Hemophilia A und B in einer Phase-2a-Studie. Ataluren des Mechanismus der Aktion bietet das Potenzial, mehrere genetische Erkrankungen mit verschiedenen Pathophysiologies und Krankheit Manifestationen Adresse.

## **ÜBER DIE PHASE 2 B KLINISCHE PRÜFUNG**

2 Die randomisierte, Doppelblind, Placebo-gesteuerten Phase b Testversion wurde entwickelt, um Sicherheit und Wirksamkeit von 48 Wochen Ataluren-Therapie bei Patienten mit NmDBMD zu bewerten. Die Studie eingeschrieben 174 Teilnehmer an 37 Standorten in Nordamerika, Europa, Australien und Israel. Teilnehmer wurden zufällig, um entweder einer niedrigen Dosis von Ataluren (10 mg/kg am Morgen, 10 mg/kg am Mittag und 20 mg/kg am Abend), einer hohen Dosis von Ataluren (20 mg/kg am Morgen, 20 mg/kg am Mittag und 40 mg/kg am Abend) oder Placebo (inaktive Droge am Morgen, am Mittag, und abends) zu erhalten. Die primäre Ergebnis-Maßnahme war die Gesamtstrecke während eines Tests 6 Minuten zu Fuß, eine standardisierte Test der Ambulation ging. Andere Ergebnis-Maßnahmen in der Studie ausgewertet Aktivität zu Hause, Muskeln und Herz-Funktion, Stärke, kognitive Fähigkeit, Muscle Integrität und Muskel Dystrophin Ausdruck. Sicherheit-Parameter, Compliance und Ataluren Blut Level wurden auch überwacht.

## **ÜBER DUCHENNE/BECKER MUSKELDYSTROPHIE**

Duchenne und Becker Muskeldystrophie (DBMD) sind progressive Musculus Störungen durch den Mangel an funktionale Dystrophin Protein verursacht. Dystrophin ist entscheidend für die strukturelle Stabilität der skeletal, Diaphragma und Herzen Muskeln. Patienten mit Duchenne Muskeldystrophie, die mehr severe Form der ursächlichen Störung, verlieren die Fähigkeit, so früh wie Alter 10 und Erfahrung lebensbedrohenden Lunge und Herz-Komplikationen in ihren späten Teenager und zwanziger Jahre gehen. Eine kleinere Teilmenge wird klassifiziert, als Becker Muskeldystrophie, eine milder Variation der Störung, die später Manifestation der Symptome zugeordnet ist. Etwa 10 bis 15 Prozent aller DBMD Fälle werden durch Unsinn Mutationen in das Dystrophin-gen verursacht. Es gibt eine geschätzte 1.900 und 2.200 Patienten mit NmDBMD in den USA und Europa, bzw.. Weitere Informationen zu DBMD ist über der Muscular Dystrophie Association ([www.mdausa.org](http://www.mdausa.org)), das übergeordnete Projekt Muscular Dystrophie ([www.parentprojectmd.org](http://www.parentprojectmd.org)) und der

Association Française Contre Les Myopathies verfügbar (AFM – [www.afm-france.org](http://www.afm-france.org)).

### **ÜBER ATALUREN**

Ein Investigatives neues Medikament entdeckt von PTC Therapeutics, Ataluren eine Protein Wiederherstellung-Therapie, die so konzipiert, dass die Bildung eines funktionierenden Proteins bei Patienten mit genetischen Störungen verursacht durch eine Mutation Unsinn ist. Eine Mutation Unsinn ist eine Änderung in den genetischen Code, der vorzeitig die Synthese von einer wesentlichen Protein anhält. Die resultierende Erkrankung wird bestimmt durch die Protein in seiner Gesamtheit ausgedrückt werden kann und nicht mehr funktionsfähig ist. Ataluren ist für die Verwendung bei Patienten mit genetischen Störungen aufgrund von eine Mutation Unsinn derzeit untersucht.

PTC Therapeutics und Genzyme Corporation gegründet eine exklusive Zusammenarbeit in 2008 zu entwickeln und zu kommerzialisieren Ataluren weltweit. PTC Therapeutics wird das Produkt in den USA und Kanada, vermarkten, während Genzyme Ataluren in anderen Regionen der Welt kommerzialisieren wird. Die Entwicklung der Ataluren auch durch Zuschüsse aus unterstützt worden Cystic Fibrosis Foundation Therapeutics Inc. (den gemeinnützigen Partner der Cystic Fibrosis Foundation); FDA Office von verwaisten Produkte Entwicklung; Muscular Dystrophie Association; National Center for Research Ressourcen; National Heart, Lung, und Blood Institute; und übergeordneten Projekt Muscular Dystrophie.

### **ÜBER PTC-THERAPEUTIKA**

PTC ist ein biopharmazeutisches Unternehmen konzentrierte sich auf die Erkennung, Entwicklung und Kommerzialisierung von mündlich verwalteten kleinen-Molekül-Drogen, die Posttranskriptionale Steuerelement Prozesse abzielen. Posttranskriptionale-Steuerelement Prozesse Regeln die Rate und Timing der Protein-Produktion und sind von zentraler Bedeutung, ordnungsgemäße Mobilfunk-Funktion. Von PTC entdeckt Pipeline Adressen intern mehrere therapeutische Bereiche, einschließlich seltenen genetische Erkrankungen, Onkologie und Infektionskrankheiten. PTC hat proprietäre Technologien entwickelt, dass es in seiner Droge Discovery-Aktivitäten gilt, und die Grundlage für die Zusammenarbeit ist mit führenden biopharmazeutisches Unternehmen wie Celgene, Genzyme, Gilead, Merck, Pfizer und Roche. Besuchen Sie für weitere Informationen des Unternehmens-Website unter [www.ptcbio.com](http://www.ptcbio.com).

### **ÜBER GENZYME**

Eines der weltweit führenden Biotechnologieunternehmen, Genzyme ist gewidmet, wodurch erhebliche positive Auswirkungen auf das Leben von Menschen mit schweren Krankheiten. Seit 1981 ist das Unternehmen von einem kleinen Start-up, eine diversifizierte Unternehmen mit mehr als 12.000 Mitarbeiter an Standorten, die der ganzen Welt und 2009 Umsatz von 4.5 Milliarden US-Dollar gewachsen. Genzyme ist mit viele etablierte Produkte und Dienstleistungen, die Patienten in rund 100 Ländern helfen führend bei den Bemühungen zu entwickeln und anwenden die fortschrittlichsten Technologien in der Life-Sciences. Produkte und Dienstleistungen des Unternehmens sind auf seltene geerbten Störungen, Nierenerkrankungen, Orthopädie, Krebs, Transplantation und immun Krankheit und Diagnosetests konzentriert. Die Genzyme seiner Verpflichtung zur Innovation weiterhin heute mit einem wesentlichen Entwicklungsprogramm konzentriert sich auf diesen Feldern ebenso wie Herz-Kreislauf-Erkrankungen, Neurodegenerative Krankheiten und andere Bereiche der unerfüllte medizinische Notwendigkeit.

### **GENZYME SAFE HARBOR-ANWEISUNG**

Diese Pressemitteilung enthält vorausschauenden Aussagen bezüglich des Genzyme zukünftige Business-Pläne und Strategien, einschließlich ohne Einschränkung, Aussagen bezüglich des Ataluren klinischen Entwicklung, des Ataluren-Potential in Indikationen andere als NmDBMD und des Genzyme plant, die Ataluren-Entwicklung für die Behandlung von verschiedenen genetischen Störungen. Diese vorausschauenden Aussagen unterliegen Risiken und Ungewissheiten, wodurch die tatsächlichen Ergebnisse erheblich von den prognostizierten abweichen führen können. Diese Risiken und Unsicherheiten gehören, unter anderem: diese zusätzliche Analyse von Daten aus der Testversion ist nicht ausreichend, um den Entwicklungsplan für Ataluren; informieren, Genzyme oder Kaltleiterfühler verfolgt nicht die Entwicklung der Ataluren Muskelerkrankungen Dystrophies oder anderen Krankheiten; behandeln, die Ataluren nicht zu einer sicheren oder wirksame Behandlung für Muskelerkrankungen Dystrophies oder anderen Krankheiten; gefunden wird und die Risiken und Unsicherheiten, die in Berichten beschrieben eingereicht von Genzyme mit der Securities And Exchange Commission unter der Securities Exchange Act von 1934, in der geänderten Fassung, einschließlich ohne Einschränkung der Informationen unter der Überschrift "Risikofaktoren" in's Genzyme Geschäftsbericht im Formular 10-K für das Jahr endete, 2009. Genzyme Hinweise Investoren nicht um wesentliche Vertrauen auf die in dieser Pressemitteilung zukunftsgerichteten Aussagen zu platzieren. Diese Anweisungen sprechen nur als nach dem Datum der dieser Pressemitteilung, und Genzyme übernimmt keine Verpflichtung zu aktualisieren oder überarbeiten diese Anweisungen.

### **WEITERE INFORMATIONEN:**

#### **Investor und Medien**

Jane Baj  
PTC Therapeutics, Inc.  
(908) 912-9167  
[jbaj@ptcbio.com](mailto:jbaj@ptcbio.com)

#### **Media-Kontakt:**

Lori Gorski Patrick Flanigan  
Genzyme Corporation Genzyme Corporation  
(617) 768-9344

#### **Investor Kontakt:**

(617) 768-6563

Lori.Gorski@Genzyme.com

**PATIENTEN, PATIENTEN-FAMILIEN, ERMITTLERN UND PATIENTENORGANISATIONEN**

Diane Goetz

PTC Therapeutics, Inc.

(908) 912-9256 oder (866) 282-5873

patientinfo@ptcbio.com