

## Medicinsk forsøg med Duchennes muskeldystrofi afbrudt

**Et forsøg med medicinen Ataluren (tidligere kendt som PTC124) er blevet afbrudt efter forsøgets fase 2b. Det skyldtes, at testresultaterne ikke viste nogen statistisk holdbar forbedring hos den gruppe af forsøgspersonerne, der fik Ataluren i højeste dosis.**

*Af Rasmus Dahl*

Forsøget omfattede 174 drenge med Duchennes og Beckers muskeldystrofi i alderen 5-20 år fra 37 forskellige steder i 11 forskellige lande, bl.a. England, USA, Australien, Tyskland og Sverige. Alle forsøgspersonerne var gående, og mange var i steroid-behandling.

Ataluren retter sig mod de ca. 10% af drengene med Duchennes eller Becker muskeldystrofi, der har en såkaldt nonsens-mutation. Duchennes eller Becker muskeldystrofi skyldes en fejl i det gen (arveanlæg), der står for kroppens produktion af proteinet dystrofin. Når kroppen mangler dystrofin, medfører det bl.a., at muskelcellerne hurtigere går til grunde end hos raske. Atalurens virkning gør, at kroppen så at sige springer over genfejlen og sørger for, at der igen bliver produceret virksomt dystrofin.

Forsøget har været 48 uger, og forsøgspersonerne har været delt op i tre forskellige grupper: En der har fået en høj dosis Ataluren, en der har fået en lav dosis Ataluren og endelig en, der har fået placebo eller snydemedicin. Forsøget har været et såkaldt dobbelt blind-forsøg, hvilket vil sige, at hverken de forskende læger eller forsøgspersonerne undervejs i forsøget har vidst, hvem der fik hvilken dosis medicin.

Undervejs og efter de 48 uger er deltagerne blevet undersøgt på mange forskellige måder bl.a. med muskelstyrketest og måling af dystrofin-niveau. Men den altafgørende måling ved forsøget har været 6-minutters-gangtesten, der går ud på at måle, hvor langt forsøgspersonerne har kunnet gå på 6 minutter. I gennemsnit gik forsøgspersonerne, der havde fået høj dosis Ataluren og de, der havde fået placebo 42 meter kortere ved forsøgets afslutning, end de havde gjort ved forsøgets start. De, der havde fået Ataluren i lav dosis, gik i gennemsnit 29 meter kortere end ved forsøgsstart. Forskerne havde forventet at gennemsnittet for de, der havde fået Ataluren, var 30 meter længere end ved forsøgsstart. Det er disse resultater, der er baggrund for, at forsøget et blevet standset.

Udover at teste Atalurens virkningsgrad har en undersøgelse af bivirkninger og sikkerhed også været en del af formålet med forsøget, og her oplyses det, at stoffet er blevet tålt godt af forsøgspersonerne, og at der kun har været få og milde bivirkninger. Ataluren kan i princippet bruges til at behandle alle sygdomme, der skyldes en nonsens-mutation, og selv om forsøget med Duchennes og Beckers muskeldystrofi standses, fortsætter der andre forsøg med medicinen til behandling af cystisk fibrose og blødersygdom.