



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHÈSE D'AVIS 23 OCTOBRE 2019

ataluren

TRANSLARNA 125 mg, 250 mg, 1000 mg, granulés pour suspension buvable

Nouvelle indication

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne, résultant d'une mutation non-sens dans le gène de la dystrophine, chez les patients ambulatoires âgés de 2 ans ou plus.

► Quel progrès ?

Pas de progrès dans la prise en charge de la dystrophie musculaire de Duchenne chez les patients ambulatoires âgés de 2 ans ou plus.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

L'ataluren est un médicament qui s'adresse à une population très ciblée et très restreinte d'enfants marchant, ayant une DMD avec une mutation non-sens (codon STOP prématuré), dès l'âge du diagnostic.

En l'absence de démonstration de son efficacité par rapport au placebo à partir des données fournies, mais en raison de la gravité de la maladie et de l'absence d'alternative thérapeutique disposant d'une AMM validée, et compte tenu d'une tolérance acceptable, TRANSLARNA pourra s'insérer, sans le modifier, dans le schéma thérapeutique actuel.

Les données fournies ne permettent toujours pas de répondre aux questions des critères d'instauration de ce médicament, et de sa poursuite ou de son arrêt après la perte de la marche.

Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence disponible sur www.has-sante.fr