

## Lettre aux professionnels de santé

Mai 2025

### ▼ **Translarna (ataluren) : Arrêt de mise à disposition suite au non-renouvellement de l'AMM conditionnelle européenne**

*Information destinée aux médecins spécialistes en pédiatrie ou en neurologie prescripteurs de Translarna® et aux pharmaciens en charge de la rétrocession du produit.*

Madame, Monsieur,

A la demande de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), PTC Therapeutics vous informe de ce qui suit :

#### Résumé

- **Par décision en date du 28 mars 2025, la Commission européenne a refusé le renouvellement de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) conditionnelle de Translarna (ataluren). Cette AMM n'est donc plus en vigueur depuis cette date.**
- **Les ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale, après avis de l'ANSM, ont en conséquence décidé de mettre fin à la prise en charge dérogatoire par les régimes de Sécurité Sociale de ce traitement.**
- **Translarna n'est donc plus disponible en France depuis le 28 mars 2025.**
- **Dans ce contexte, nous vous invitons à prendre contact avec les patients et leurs familles afin de les informer de cette décision et d'évaluer leur future prise en charge.**

#### Informations complémentaires

Translarna a été autorisé dans l'Union Européenne (UE) le 31 juillet 2014 pour le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne, résultant d'une mutation non-sens dans le gène de la dystrophine (DMDn), chez les patients ambulatoires âgés de 5 ans ou plus. Au moment de son autorisation dans l'UE, les données soutenant les effets de Translarna n'étaient pas considérées comme complètes en raison d'une incertitude sur l'importance de l'effet de Translarna. Le médicament a donc obtenu une autorisation de mise sur le marché à condition que le laboratoire fournisse des données supplémentaires afin de confirmer l'efficacité et la sécurité du médicament.

Aucun nouveau problème de sécurité n'a été identifié que ce soit dans les études contrôlées versus placebo ou au cours du suivi de 10 ans post-commercialisation dans approximativement 50 pays. En revanche, le CHMP a conclu que les données d'efficacité évaluées (étude de phase 3 PTC124-GD-020-DMD, études de phase 3 PTC124-GD-041-DMD, registre STRIDE) ne permettaient pas de confirmer l'efficacité du médicament.

Ainsi, au vu des données susmentionnées, le CHMP a recommandé en octobre 2024 de ne pas renouveler l'autorisation de mise sur le marché conditionnelle et la Commission européenne a ratifié 28 mars 2025, le non- renouvellement de l'AMM conditionnelle de Translarna dans l'Espace économique européen.

Pour rappel, Translarna était disponible et pris en charge par les régimes de Sécurité Sociale en France à titre dérogatoire.

Nous vous prions d'agréer, Madame, Monsieur, l'expression de nos salutations distinguées.

**Information médicale**

Pour toute question ou information complémentaire concernant l'utilisation de Translarna, veuillez contacter le Service d'Information Médicale (téléphone : 01 76 70 10 01 – adresse e-mail : [medinfo@ptcbio.com](mailto:medinfo@ptcbio.com))

Laurence Campion  
Pharmacien Responsable  
PTC Therapeutics France

Olivier Illouz  
Directeur Médical  
PTC Therapeutics France