

**MEDICAMENT AYANT FAIT L'OBJET D'UNE ATU de cohorte
EN ATTENTE D'UN FINANCEMENT DEFINITIF**

▼ Médicament faisant l'objet d'une surveillance supplémentaire (pour plus d'information cliquer [ICI](#))

05/2005 : EMA/Désignation médicament orphelin

06/2014 : ANSM/Octroi ATUc 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 **5 ans ou plus**.

07/2014 : EMA/AMM européenne conditionnelle (indication AMM identique à celle de l'ATUc)

10/2014 : HAS/Décision n° 2014.0214/DC/SEESP du 22 octobre 2014 du collège de la Haute Autorité de santé constatant l'absence d'impact significatif du produit TRANSLARNA sur les dépenses de l'assurance maladie → **pas d'impact significatif** (ne fera pas l'objet d'une évaluation médico-économique par la CEESP)

12/2014 : ANSM/Fin ATUc (15/12/2014)

02/2015 : HAS/Avis CT du 21/01/2015 → **SMR modéré, ASMR IV (mineure)**

07/2017 : HAS/Avis CT du 05/07/2017 → **SMR faible, ASMR V (pas d'amélioration)**

10/2017 : EMA/Mise à jour EPAR : prudence en cas d'administration avec des substrats de l'OAT3 (ex : ciprofloxacine), en particulier ceux ayant une fenêtre thérapeutique étroite (risque d'inhibition par l'ataluren).

2017 : Revue Cochrane « Ataluren and similar compounds (specific therapies for premature termination codon class I mutations) for cystic fibrosis » (*Aslam AA et al*)

05/2018 : EMA/Mise à jour EPAR : **Aucun ajustement posologique** nécessaire chez les patients présentant une insuffisance hépatique légère, modérée ou sévère.

07/2018 : EMA/Extension AMM 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** (auparavant 5 ans ou plus).