

Il Gruppo Italfarmaco ottiene dall'EMA la validazione della richiesta di autorizzazione all'immissione in commercio per givinostat per la distrofia muscolare di Duchenne

MILANO, 5 settembre 2023 - Oggi il [Gruppo Italfarmaco](#) ha annunciato di avere presentato all'Agenzia europea per i medicinali (EMA) la richiesta di autorizzazione all'immissione in commercio per givinostat come potenziale trattamento per la distrofia muscolare di Duchenne (DMD) e ha comunicato che l'EMA ha avviato la procedura di revisione regolatoria.

La richiesta di autorizzazione si è basata sui risultati di sicurezza ed efficacia ottenuti dallo studio clinico EPIDYS di fase III che ha testato Givinostat, un inibitore delle deacetilasi istoniche (HDAC), in pazienti con DMD. La richiesta di autorizzazione all'EMA ha fatto seguito alla richiesta di nuovo farmaco (New Drug Application) per givinostat sottomessa alla Food and Drug Administration statunitense (FDA), la quale ha concesso la revisione prioritaria per il farmaco come [annunciato a giugno di quest'anno](#).

“La valutazione di fase III di givinostat ha dimostrato che il farmaco può rallentare la progressione della DMD in bambini di età pari o superiore a 6 anni, Qualora venisse approvato, givinostat rappresenterebbe un'opzione terapeutica efficace per i pazienti DMD preservandone le abilità motorie e la forza muscolare”, ha dichiarato **Paolo Bettica, MD, PhD, Chief Medical Officer del Gruppo Italfarmaco**. *“Ora che la nostra richiesta di autorizzazione all'immissione in commercio è in fase di revisione, non vediamo l'ora di lavorare con le autorità regolatorie per offrire questa opzione terapeutica ai pazienti affetti da questa patologia debilitante, con l'obiettivo di apportare benefici terapeutici e assicurare una migliore qualità di vita.”*

“L'accettazione delle richieste di autorizzazione inviate agli organismi regolatori europei e statunitensi rappresenta un traguardo importante per la nostra azienda e conferma l'impegno e gli sforzi profusi da Italfarmaco nello sviluppo clinico di givinostat”, ha aggiunto **Carlos Barallobre, CEO del Gruppo Italfarmaco**.

[Lo studio clinico pivotal EPIDYS di fase III](#) valutato l'efficacia e la sicurezza di givinostat in 179 pazienti deambulanti con DMD di età pari o superiore a 6 anni (Clinicaltrials.gov: [NCT02851797](#)). Givinostat è stato somministrato per via orale per 18 mesi in combinazione con il trattamento continuativo con corticosteroidi. Lo studio ha soddisfatto l'endpoint primario di miglioramento funzionale valutato sulla base della variazione media rispetto al basale nel tempo necessario per salire quattro scalini nella popolazione target¹. L'analisi dei principali endpoint secondari, tra cui la valutazione dell'infiltrazione del tessuto adiposo mediante risonanza magnetica e test per la funzionalità e la forza muscolare, ha fornito risultati coerenti con l'endpoint primario. Givinostat ha mostrato un profilo di sicurezza e tollerabilità significativo in linea con i risultati dei precedenti studi.

Nei pazienti con DMD, l'assenza di distrofina altera diversi processi biologici nei tessuti muscolari e porta a una progressiva degenerazione dei muscoli, causando un decesso prematuro. L'alterata attività

¹ Popolazione target: soggetti con una frazione di tessuto adiposo nel muscolo vasto laterale al basale valutata mediante spettroscopia di risonanza magnetica (MRS) in un range compreso tra >5% e ≤ 30%

delle HDAC, un gruppo di enzimi che contribuiscono al mantenimento dell'omeostasi nei muscoli scheletrici, è la principale conseguenza avversa dell'assenza di distrofina. Inibendo l'iperattività patologica delle HDAC, givinostat è in grado di rimediare alla cascata di segnali intracellulari che causano il danno muscolare, contrastando gli eventi patogenetici della malattia e rallentando la degenerazione muscolare.

La distrofia muscolare di Duchenne

La distrofia muscolare di Duchenne (DMD) è un grave patologia neuromuscolare caratterizzata dall'indebolimento e dalla degenerazione progressiva dei muscoli ed è il tipo più comune di distrofia muscolare al mondo. La malattia colpisce principalmente i bambini maschi e si manifesta tra i 2 e i 5 anni di età, con un peggioramento progressivo dei sintomi, fino ad arrivare alla perdita della capacità di camminare. Infine, coinvolge i muscoli cardiaci e respiratori causando il decesso prematuro. L'incidenza della DMD è di circa 1 paziente maschio ogni 3500-6000 nati vivi in tutto il mondo.

Givinostat

Givinostat è un farmaco sperimentale frutto delle attività in-house di ricerca e sviluppo del Gruppo Italfarmaco in collaborazione con Lorenzo Puri (Sanford Burnham Prebys Medical Research Institute di San Diego, in precedenza Fondazione Santa Lucia di Roma) e il suo team, e in partnership con Telethon e Parent Project aps. Il suo profilo di sicurezza ed efficacia è stato valutato per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne e di Becker. Givinostat si è rivelato in grado di contrastare la progressione della malattia, aumentare significativamente la massa muscolare, ridurre la fibrosi e diminuire significativamente la necrosi dei tessuti muscolari e la sostituzione con tessuto adiposo (Bettica *et al.*, Neuromuscular Disorders 2016).

Il Gruppo Italfarmaco

Il Gruppo Italfarmaco è una società farmaceutica che si occupa di ricerca, sviluppo, produzione e commercializzazione di prodotti originali con obbligo di prescrizione e da banco in oltre 60 Paesi in 5 continenti. L'esperienza del Gruppo Italfarmaco maturata nella ricerca e nello sviluppo si concretizza in particolare nei suoi programmi di sviluppo dell'inibitore delle HDAC, con l'obiettivo di trovare nuove terapie per le malattie rare e complesse. Attraverso i farmaci già presenti in commercio e i preparati in fase di sviluppo, l'obiettivo del Gruppo Italfarmaco è trovare soluzioni a supporto dei pazienti con esigenze mediche ancora insoddisfatte.

Contatti:

Contatti per i media:

Trophic Communications

Gretchen Schweitzer

+49 (0) 172 861 8540

italfarmaco@trophic.eu