

SPOROČILO ZA MEDIJE

EU je odobrila zdravilo Duvyzat za zdravljenje Duchennove mišične distrofije

- Zdravilo Duvyzat, ki je zdaj odobreno v EU, nudi pomembno novo možnost zdravljenja, ki upočasnjuje napredovanje Duchennove mišične distrofije (DMD).
- Duvyzat se jemlje peroralno za zdravljenje DMD pri bolnikih, starih 6 let in več, ki še lahko hodijo.
- Odobritev temelji na podatkih klinične študije faze 3 EPIDYS, ki je pokazala pomembne koristi zdravljenja pri bolnikih, ki so še pokretni.
- Za distribucijo zdravila v Sloveniji bo skrbelo podjetje Medis.

Ljubljana, Milano, 11. junija 2025 – Evropska komisija je izdala pogojno dovoljenje za promet za zdravilo Duvyzat (givinostat) v EU. Zdravilo je odobreno za zdravljenje Duchennove mišične distrofije (DMD) pri bolnikih, starih 6 let in več, ki še lahko hodijo, ob sočasnem zdravljenju s kortikosteroidi. Duchennova mišična distrofija (DMD) je redka, progresivna živčno-mišična bolezen, ki jo povzroča mutacija gena za distrofin. DMD je ena najhujših in najpogostejših oblik mišične distrofije v otroštvu.

Odločitev Evropske komisije sledi [pozitivnemu mnenju](#) Odbora za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) Evropske agencije za zdravila (EMA) s koncem letošnjega aprila. Odobritev velja za vseh 27 držav članic EU ter Islandijo, Lihtenštajn in Norveško. Proizvajalec zdravila, italijansko podjetje [Italfarmaco](#), bo sedaj tesno sodelovalo z nacionalnimi organi in distribucijskimi partnerji, da bi omogočilo čim hitrejši dostop do zdravila Duvyzat po vsej EU. Za distribucijo zdravila v Sloveniji bo skrbelo podjetje Medis, ki je ekskluzivni partner podjetja Italfarmaco za 17 držav srednje in vzhodne Evrope.

*»Ljudje, ki živijo z DMD v Evropi, že dolgo čakajo na nove terapevtske možnosti, ki bi lahko spremenile potek te resne bolezni. Do zdaj je bilo malo odobrenih zdravil, ki bi obravnavala osnovno patologijo DMD v široki populaciji bolnikov. To se je spremenilo z odobritvijo zdravila Duvyzat, ki upočasnjuje napredovanje bolezni in ohranja mišično funkcijo ne glede na mutacijo gena, saj deluje na mehanizme bolezni,« je dejal **dr. Paolo Bettica, dr. med., medicinski direktor v podjetju Italfarmaco.** »Tesno bomo sodelovali z zdravstvenimi inštitucijami in skupnostjo bolnikov z DMD, da bi zagotovili čim hitrejši dostop do te pomembne nove terapije po vsej Evropi.«*

»Odobritev zdravila Duvyzat je potrditev njegovega terapevtskega potenciala ter dokaz znanstvene odličnosti podjetja Italfarmaco in njegove zavezanosti k inovacijam na področju redkih bolezni,« je dejal **dr. Francesco De Santis, predsednik pri Italfarmaco Holding in predsednik pri Italfarmaco Group**. »Ta mejnik pomeni, da ima sedaj širok krog bolnikov z DMD dostop do nove oblike zdravljenja. V podjetju Italfarmaco s tem dosežkom potrjujemo, da se osredotočamo na razvoj terapij, ki lahko pomembno izboljšajo življenja ljudi.«

Odobritev temelji na [pozitivnih rezultatih študije faze 3 EPIDYS](#), multicentrične, randomizirane, dvojno slepe in s placebom nadzorovane študije (NCT02851797). V študiji je sodelovalo 179 dečkov, starih šest let ali več, ki so še pokretni. Poleg zdravljenja s kortikosteroidi so prejeli dvakrat dnevno ali zdravilo Duvyzat ali placebo. Študija EPIDYS je dosegla svojo primarni končni cilj, saj je pokazala statistično in klinično pomembno razliko v času, ki so ga dečki potrebovali za dokončanje testa hoje po štirih stopnicah.

Zdravilo Duvyzat je pokazalo ugodne rezultate tudi pri ključnih sekundarnih končnih ciljih, vključno z rezultati t. i. North Star Ambulatory Assessment (NSAA) vprašalnika ter oceno prisotnosti maščobnega tkiva v mišicah, kot so ga pokazali pregledi z magnetno resonanco. Natančneje, zdravljenje z zdravilom Duvyzat je pokazalo na 40-odstotni manjši upad skupne izgube ocenjenih kategorij v NSAA. To kaže na potencial zdravila Duvyzat pri upočasnjevanju napredovanja bolezni pri bolnikih z DMD.

Večina neželenih učinkov, opaženih pri zdravljenju z zdravilom Duvyzat, je bila blagih do zmernih. Rezultati te študije so bili marca 2024 objavljeni v reviji *The Lancet Neurology*.¹ Primerjava dolgoročnih podatkov iz podaljšane in še vedno trajajoče študije EPIDYS z naravnim potekom bolezni ob uporabi *propensity score matching* statistične analize je pokazala, da je bila mediana starosti ob izgubi pokretnosti 18,1 leta v skupini, ki je prejela zdravilo Duvyzat, v primerjavi s 15,2 leta v kontrolni skupini.²

Podjetje Italfarmaco bo izvedlo dodatne klinične študije za nadaljnjo potrditev terapevtskih koristi zdravila. Zdravilo je že odobreno tudi izven EU. Ameriška Agencija za hrano in zdravila (FDA) je marca lani izdala dovoljenje za zdravilo Duvyzat za zdravljenje bolnikov z DMD, starih 6 let in več. V Združenem kraljestvu je Agencija za nadzor medicinskih in zdravstvenih izdelkov (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency – MHRA) odobrila zdravilo Duvyzat za zdravljenje še pokretnih bolnikov, starih 6 let in več, za nepokretne bolnike pa je izdala pogojno dovoljenje za promet.

O Duchennovi mišični distrofiji

Duchennova mišična distrofija (DMD) je redka progresivna živčno-mišična bolezen. Povzroča jo mutacija v genu *DMD*, ki preprečuje proizvodnjo delujočega proteina distrofina, kar povzroči propad z distrofinom povezanega proteinskega kompleksa (DAPC). Zaradi tega so mišična vlakna občutljivejša na poškodbe, v mišičnih celicah pa se poveča raven histonske deacetilaze (HDAC). To blokira aktivacijo ključnih genov, ki jih sicer potrebujemo za vzdrževanje in obnovo mišic. Mišična vlakna so posledično izpostavljeni nenehnim poškodbam, kar vodi v kronično vnetje in slabšo regeneracijo mišic. Mišične celice sčasoma odmrejo, nadomesti pa jih fibrozno in maščobno tkivo.³⁻⁶ Bolezen prizadene predvsem dečke. Simptomi se običajno pojavijo med drugim in petim letom starosti. Z napredovanjem bolezni se mišična oslabelost stopnjuje, kar povzroči težave pri hoji in postopoma bolnik izgubi zmožnost hoje. Bolezen negativno vpliva tudi na srčno mišico in dihalne mišice, kar sta glavna vzroka prezgodnje smrti.⁷ DMD je ena najhujših in najpogostejših oblik mišične distrofije v otroštvu, s svetovno pojavnostjo približno 1 na 5.050 dečkov.⁸

O zdravilu Duvyatz®

Zdravilo Duvyatz® je plod raziskav in razvoja podjetja Italfarmaco v sodelovanju s Telethonom in projektom Duchenne Parent Project (Italija). Duvyatz® je zaviralec histonske deacetilaze (HDAC), ki se uporablja peroralno in uravnava prekomerno aktivnost HDAC, značilno za mišice pri DMD. S tem zdravilo pripomore k izražanju ključnih genov in vzpostavlja ravnovesje bioloških procesov, ki so bistveni za vzdrževanje in obnovo mišic. Njegov mehanizem delovanja je neodvisen od vrste genske mutacije, ki povzroča bolezen.^{9, 10}

O podjetju Italfarmaco

Podjetje Italfarmaco, ustanovljeno leta 1938 v Milanu v Italiji, je zasebno globalno farmacevtsko podjetje, ki je uspešno razvilo in pridobilo regulatorne odobritve za številne farmacevtske izdelke po vsem svetu. Skupina Italfarmaco posluje v več kot 90 državah prek svojih ali povezanih podjetij. Podjetje je vodilno na področju farmacevtskih raziskav, razvoja izdelkov, proizvodnje in komercializacije ter ima dokazane uspehe na številnih terapevtskih področjih, vključno z imuno-onkologijo, ginekologijo, nevrologijo, kardiovaskularnimi boleznimi in redkimi boleznimi. Njihov oddelek za redke bolezni pokriva Duchennovo mišično distrofijo, Beckerjevo mišično distrofijo, amiotrofično lateralno sklerozo in policitemijo vero.

O podjetju Medis

[Medis](#) je mednarodno podjetje za trženje inovativnih zdravil, sodobnih medicinskih pripomočkov ter izdelkov brez recepta, s sedežem v Ljubljani. Deluje kot ekskluzivni partner globalnim farmacevtskim in biotehnološkim podjetjem in s svojim poglobljenim poznavanjem lokalnih posebnosti trgov ter zdravstvenih sistemov v regiji pomaga partnerjem pri vstopu na izbrane trge. S tem izboljšuje dostop do sodobnih, učinkovitih in varnih oblik zdravljenj bolnikom v 19 evropskih državah. Medis je ekskluzivni distributer podjetja Italfarmaco za givinostat v 17 državah srednje in vzhodne Evrope, vključno s Slovenijo.

Kontakti

Za Italfarmaco

Za medije:

Anja Heuer / Adolfo Luna | +49 (0) 151 106 199 05 | italfarmaco@trophic.eu

Druge poizvedbe:

Samantha Parker | Patient Advocacy and Communications Lead |

RDEnquiries@italfarmacogroup.com

Za Medis:

Tina Vojnović | +386 (0)31 744 735 | pr@medis.com

Reference:

1. Mercuri, E, Vilchez, JJ, Boespflug-Tanguy, O, Zaidman, CM, Mah, JK, Goemans, N. Safety and efficacy of givinostat in boys with Duchenne muscular dystrophy (EPIDYS): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet Neurol.* 2024;23:393-403.
2. Vandenborne, K., McDonald, C., Servais, L., Munell, F., Schara, U., Bertini, E., Comi, G., Blaschek, A., Cazzaniga, S., Bettica, P. U., & Mercuri, E. (2025, March). Givinostat in Duchenne muscular dystrophy: Effect on disease milestones [Poster presentation]. MDA Clinical & Scientific Conference, Dallas, TX. <https://www.mdaconference.org/abstract-library/givinostat-in-duchenne-muscular-dystrophy-effect-on-disease-milestones/>
3. Sandonà M, Cavioli G, Renzini A, et al. Histone Deacetylases: Molecular Mechanisms and Therapeutic Implications for Muscular Dystrophies. *Int J Mol Sci.* 2023;24(5):4306. <https://doi.org/10.3390/ijms24054306>.
4. Consalvi S, Saccone V, Giordani L, Minetti G, Mozzetta C, Puri PL. Histone Deacetylase Inhibitors in the Treatment of Muscular Dystrophies: Epigenetic Drugs for Genetic Diseases. *Mol Med.* 2011;17(5):457-465. <https://doi.org/10.2119/molmed.2011.00049>.
5. Bez Batti Angulski A, Hosny N, Cohen H, et al. Duchenne muscular dystrophy: disease mechanism and therapeutic strategies. *Front Physiol.* 2023;14:1183101. <https://doi.org/10.3389/fphys.2023.1183101>.
6. Giuliani G, Rosina M, Reggio A. Signaling pathways regulating the fate of fibro/adipogenic progenitors (FAPs) in skeletal muscle regeneration and disease. *FEBS J.* 2022;289(21):6484-6517. <https://doi.org/10.1111/febs.16080>.
7. Walter MC, Reilich P. Recent developments in Duchenne muscular dystrophy: facts and numbers. *J Cachexia Sarcopenia Muscle.* 2017;8(5):681-685. <https://doi.org/10.1002/jcsm.12245>.
8. Crisafulli S, Sultana J, Fontana A, Salvo F, Messina S, Trifirò G. Global epidemiology of Duchenne muscular dystrophy: an updated systematic review and meta-analysis. *Orphanet J Rare Dis.* 2020;15(1):141. <https://doi.org/10.1186/s13023-020-01430-8>.
9. Comi G, Bertini E, Vita G, et al. S22.008: Development of the histone deacetylases inhibitor Givinostat in Duchenne Muscular Dystrophy. Poster. *Neurology.* 2018;90(15 (Supplement)).
10. Licandro SA, Crippa L, Pomarico R, et al. The pan HDAC inhibitor Givinostat improves muscle function and histological parameters in two Duchenne muscular dystrophy murine models expressing different haplotypes of the LTBP4 gene. *Skelet Muscle.* 2021;11(1):19. <https://doi.org/10.1186/s13395-021-00273-6>.