PRIOPĆENJE ZA MEDIJE

Europska unija odobrila lijek Duvyzatza liječenje

Duchenneove mišićne distrofije

* Lijek Duvyzat koji je sada odobren u EU pruža važnu novu mogućnost liječenja koja odgađa napredovanje rijetke bolesti, Duchenneove mišićne distrofije (DMD).
* Lijek Duvyzat primjenjuje se peroralno za liječenje DMD u pokretnih bolesnika u dobi od šest godina i starijih.
* Odobrenje se temelji na podacima iz kliničkog ispitivanja treće faze EPIDYS koji su pokazali značajne koristi liječenja bolesnika koji su još pokretni.
* Za distribuciju lijeka u Hrvatskoj brinut će se tvrtka Medis.

**Zagreb, Milano, 12. lipnja 2025.** – **Europska komisija izdala je uvjetno odobrenje za stavljanje lijeka Duvyzat (givinostat) u promet u EU. Lijek je odobren za liječenje Duchenneove mišićne distrofije (DMD) u pokretnih bolesnika u dobi od šest godina i starijih, bez obzira na osnovnu mutaciju gena, koji su istodobno liječeni kortikosteroidima. Duchenneova mišićna distrofija (DMD) rijetka je progresivna neuromuskularna bolest uzrokovana mutacijom gena za distrofin. DMD je jedna od najtežih i najčešćih oblika mišićne distrofije u djetinjstvu.**

Odluka Europske komisije slijedi [pozitivno mišljenje](https://www.globenewswire.com/news-release/2025/04/25/3068387/0/en/CHMP-recommends-EU-approval-for-Duvyzat-to-treat-Duchenne-muscular-dystrophy.html) Povjerenstva za humane lijekove (CHMP) Europske agencije za lijekove (EMA) koje je objavljeno krajem travnja ove godine. Odobrenje vrijedi za svih 27 država članica EU te Island, Lihtenštajn i Norvešku. Proizvođač lijeka, talijanska tvrtka Italfarmaco, sada će blisko surađivati s nacionalnim tijelima i distribucijskim partnerima kako bi olakšao što brži pristup lijeku Duvyzat diljem EU. Za distribuciju lijeka u Hrvatskoj brinut će se tvrtka Medis, koja je ekskluzivni partner poduzeća Italfarmaco za 17 država srednje i istočne Europe.

*„Ljudi koji žive s DMD-om u Europi dugo su čekali nove terapijske mogućnosti koje bi mogle promijeniti tijek ove ozbiljne bolesti. Do sada je postojalo malo odobrenih lijekova za DMD u širokoj populaciji bolesnika. To se promijenilo odobrenjem lijeka Duvyzat, koji usporava napredovanje bolesti i čuva funkciju mišića − bez obzira na mutaciju gena − jer djeluje na mehanizme bolesti*“, izjavio je **dr. sc. Paolo Bettica, dr. med., medicinski direktor u tvrtki Italfarmaco**. *„Predani smo bliskoj suradnji sa zdravstvenim tijelima i zajednicom bolesnika s DMD-om kako bismo osigurali što brži pristup ovoj važnoj novoj terapiji po čitavoj Europi.“*

*„To što je Europska komisija odobrila lijek Duvyzat potvrda je njegovog terapijskog potencijala i dokaz znanstvene izvrsnosti tvrtke Italfarmaco te njezine predanosti inovacijama na području rijetkih bolesti“*, rekao je **dr. Francesco De Santis, predsjednik Holdinga Italfarmaco i predsjednik Grupe Italfarmaco**. *„Ova prekretnica znači da sada mnogi bolesnici s DMD-om imaju pristup novom obliku liječenja. U Italfarmacu tim postignućem ponovno potvrđujemo da se fokusiramo na razvoj terapija koje mogu značajno poboljšati živote ljudi."*

Odobrenje se temelji na [pozitivnim rezultatima ispitivanja treće faze EPIDYS](https://www.businesswire.com/news/home/20240319626593/en/Results-from-Italfarmaco-Pivotal-Phase-3-EPIDYS-Study-of-Givinostat-in-Duchenne-Muscular-Dystrophy-DMD-Published-in-The-Lancet-Neurology), multicentričnog, randomiziranog, dvostruko slijepog, placebom kontroliranog ispitivanja (NCT02851797). U ispitivanju EPIDYS sudjelovalo je 179 dječaka u dobi od šest godina ili starijih koji su još pokretni. Istodobno s kortikosteroidima dobivali su ili lijek Duvyzat ili placebo dva puta na dan. Ispitivanje EPIDYS postiglo je svoj primarni cilj; pokazalo je statistički značajnu i klinički važnu razliku na testu koji ocjenjuje vrijeme penjanja dječaka po četiri stepenice.

Lijek Duvyzat također je pokazao povoljne rezultate kod ključnih sekundarnih ciljeva, a to su test North Star Ambulatory Assessment (NSAA) i procjena masne infiltracije u mišićima koju su pokazali pregledi pomoću magnetske rezonancije. Liječenje lijekom Duvyzat osobito je povezano s 40-postotnim smanjenjem kumulativnog gubitka bodova na testu NSAA. To ukazuje na potencijal lijeka Duvyzat da odgodi napredovanje bolesti.

Većina nuspojava primijećena kod lijeka Duvyzatbila je blaga do umjerena. Rezultati ovog ispitivanja objavljeni su u časopisu *The Lancet Neurology* u ožujku 2024.1 Usporedba dugotrajnih podataka iz produžetka ispitivanja EPIDYS koje još uvijek traje s prirodnim tijekom bolesti uz primjenu statističke analize uparivanja prema sklonosti pokazala je da je medijan dobi u vrijeme gubitka pokretnosti bio 18,1 godinu u skupini koja je primala lijek Duvyzat u odnosu na 15,2 godine u kontrolnoj skupini.2

Tvrtka Italfarmaco provest će dodatna klinička ispitivanja radi dodatne potvrde terapijske koristi lijeka.

Američka Agencija za hranu i lijekove (FDA) lani u ožujku dala je odobrenje za lijek Duvyzat za liječenje bolesnika s DMD-om u dobi od šest godina i starijih. U Ujedinjenom Kraljevstvu Agencija za regulaciju lijekova i zdravstvenih proizvoda (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency – MHRA) odobrila je lijek Duvyzat za pokretne bolesnike u dobi od šest godina i starije, a za nepokretne bolesnike izdala je uvjetno odobrenje za stavljanje lijeka u promet.

###

**O Duchenneovoj mišićnoj distrofiji**

Duchenneova mišićna distrofija (DMD) rijetka je progresivna neuromuskularna bolest. Uzrokuje ju mutacija DMD gena koja sprječava proizvodnju funkcionalnog proteina distrofina, što uzrokuje razgradnju proteinskog kompleksa povezanog s distrofinom (DAPC). Zato su mišićna vlakna osjetljivija na oštećenja, a u mišićnim stanicama povisuje se razina histonske deacetilaze (HDAC). To blokira aktivaciju važnih gena koji su inače potrebni za održavanje i obnavljanje mišića. Mišićna vlakna vrlo su osjetljiva na ozljede i ta kontinuirana ozljeda mišića dovodi do kronične upale i lošije regeneracije mišića. Mišićne stanice s vremenom odumiru, a zamjenjuje ih vezivno i masno tkivo.3–6 Bolest prvenstveno pogađa dječake. Simptomi se obično pojavljuju između druge i pete godine života. Kako stanje napreduje, slabost mišića se pogoršava, što dovodi do poteškoća pri hodanju. Na kraju su zahvaćeni srčani i dišni mišići, što su vodeći uzroci prerane smrti.7 DMD je jedan od najtežih i najčešćih oblika mišićne distrofije u djetinjstvu, a incidencija u svijetu je 1 od 5050 dječaka.8

**O lijeku Duvyzat**

Duvyzat je plod istraživanja i razvoja tvrtke Italfarmaco u suradnji s Telethonom i projektom Duchenne Parent Project (Italija). Duvyzat je inhibitor histonske deacetilaze (HDAC), a primjenjuje se peroralno. Regulira pojačanu aktivnost HDAC-a, koja je karakteristična u mišićima kod bolesnika s DMD-om. Tako pomaže u ekspresiji ključnih gena i bioloških procesa koji sudjeluju u obnavljanju mišića i u upali. Njegov mehanizam djelovanja neovisan je o specifičnoj mutaciji gena distrofina koja uzrokuje bolest.10, 11

**O tvrtki ITALFARMACO**

Italfarmaco je privatna globalna farmaceutska tvrtka osnovana 1938. godine u Milanu u Italiji. Uspješno je razvila i registrirala mnoge farmaceutske proizvode diljem svijeta. Grupa Italfarmaco posluje u više od 60 zemalja putem svojih ili povezanih društava. Tvrtka je vodeća u farmaceutskim istraživanjima, razvoju proizvoda, proizvodnji i komercijalizaciji te ima dokazan uspjeh na mnogim terapeutskim područjima kao što su imunoonkologija, ginekologija, neurologija, kardiovaskularne bolesti i rijetke bolesti. Italfarmacov odjel za rijetke bolesti obuhvaća programe za Duchenneovu mišićnu distrofiju, Beckerovu mišićnu distrofiju, amiotrofičnu lateralnu sklerozu i policitemiju veru.

**O tvrtki Medis**

[Medis](https://www.medis.com/) je međunarodna tvrtka za marketing i prodaju inovativnih lijekova, suvremenih medicinskih proizvoda i proizvoda bez recepta sa sjedištem u Ljubljani. Djeluje kao ekskluzivni partner globalnih farmaceutskih i biotehnoloških tvrtki, a svojim temeljitim poznavanjem lokalnih posebnosti tržišta i zdravstvenih sustava u regiji pomaže partnerima pri ulasku na odabrana tržišta. Time bolesnicima omogućuje pristup suvremenim, učinkovitim i sigurnim oblicima liječenja u 19 europskih država. Medis je ekskluzivni distributer tvrtke Italfarmaco za givinostat u 17 zemalja srednje i istočne Europe, uključujući Hrvatsku.

Medijski upiti:

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

Ostali upiti:

Samantha Parker, voditeljica odnosa s bolesncima i komunikacija| 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>.