

FDA approva farmaco per la distrofia muscolare di Duchenne

DISABILI.COM

24 MARZO 2024

mani di una persona con guanti in lattice mentre armeggia strumenti in un laboratorio di ricerca

Givinostat è il primo farmaco non steroideo per tutte le varianti genetiche della distrofia di Duchenne, forma tra le più frequenti di distrofie muscolari dell'infanzia, che causa deterioramento progressivo dei muscoli, portando gradualmente alla perdita delle normali funzionalità motorie

Negli Stati Uniti la FDA (Food and Drug Administration) ha approvato givinostat, farmaco contro la distrofia muscolare di Duchenne, una rara e gravissima malattia neurodegenerativa di origine genetica.

Si tratta del primo farmaco non steroideo approvato per il trattamento di pazienti pari o superiori ai 6 anni, con tutte le varianti genetiche della distrofia di Duchenne. givinostat si è dimostrato in grado di aumentare la forza muscolare e di rallentare la "morte" cellulare dei tessuti muscolari allungando, in questo modo, le prospettive di vita dei malati.

Sarà Italfarmaco S.p.A. a metterlo in commercio con il marchio Duvyzat.

LA DISTROFIA DI DUCHENNE

Rara malattia neurologica, la distrofia muscolare di Duchenne è la forma infantile più comune di distrofia muscolare, che provoca degenerazione muscolare progressiva dovuta alla mancanza di una proteina muscolare, la distrofina. Nelle persone colpite, i muscoli progressivamente si deteriorano, con una degenerazione progressiva dei muscoli scheletrici e del muscolo cardiaco. L'aspettativa di vita per le persone colpite da DMD è aumentata nel corso degli anni, con alcuni pazienti che sopravvivono oltre i 30 anni.

SODDISFAZIONE DA TELETHON

Soddisfazione è stata espressa da fondazione Telethon, che ricorda come il reazionale scientifico da cui ha poi preso il via lo sviluppo della strategia terapeutica si debba agli studi di Pier Lorenzo Puri, allora ricercatore dell'Istituto Telethon Dulbecco (Dti), il programma carriere di Telethon.

A partire dagli studi di base portati avanti da Lorenzo Puri, l'approccio terapeutico è stato poi sviluppato dall'azienda Italfarmaco che, per la sperimentazione clinica, si è affidata a una rete di clinici coordinati da Eugenio Mercuri, Professore Ordinario presso l'Università Cattolica del Sacro Cuore e Direttore della UO di Neuropsichiatria Infantile del Policlinico Gemelli di Roma, a loro volta supportati dalla Fondazione.

IL COMMENTO

Francesca Pasinelli, consigliere delegato di Fondazione Telethon, commenta così la notizia: "L'approvazione da parte di FDA è un'ottima notizia per le famiglie e per la comunità italiana legata alle malattie neuromuscolari ed è un esempio dell'impegno quotidiano della Fondazione

Telethon al fianco dei malati rari, per trovare soluzioni concrete che cambino la loro vita. È anche un bell'esempio di traduzione della ricerca in strumenti concreti per i pazienti a cui, come Fondazione Telethon, siamo molto contenti di aver in parte contribuito sia per il supporto nella fase di discovery sia per il lavoro fatto negli anni, attraverso i Bandi Telethon UILDM, per far crescere un network italiano di clinici in ambito neuromuscolare. Ci auguriamo che il farmaco sia presto disponibile anche in Europa".

Il network italiano ha poi continuato a essere coinvolto nello sviluppo anche quando gli studi sono proseguiti al livello internazionale.