



Distrofia Duchenne, Aifa approva rimborso per givinostat

Descrizione

(Adnkronos) L'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ha approvato la rimborsabilità di givinostat per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne (Dmd) nei pazienti in grado di camminare, a partire dai 6 anni di età, in trattamento concomitante con corticosteroidi e indipendentemente dal tipo di mutazione genetica alla base della patologia. Una malattia rara e degenerativa che colpisce a livello globale circa 1 su 5.050 nati maschi e provoca un progressivo indebolimento di tutti i muscoli, inclusi quelli cardiaci e respiratori. Lo annuncia in una nota Italfarmaco, sottolineando che la decisione di Aifa fa seguito all'approvazione condizionata da parte della Commissione europea nel 2025 e si basa sui risultati delle sperimentazioni cliniche che dimostrano l'efficacia del farmaco e il suo favorevole rapporto beneficio-rischio.

La distrofia muscolare di Duchenne è causata da mutazioni del gene Dmd che impediscono la produzione di distrofina funzionale, una proteina chiave per la salute dei muscoli spiega Eugenio Mercuri, professore e direttore dell'Unità operativa di Neuropsichiatria infantile del Policlinico Gemelli, presso l'università Cattolica di Roma. In assenza di distrofina il muscolo viene progressivamente sostituito da tessuto fibroso o adiposo. Givinostat agisce modulando l'attività di alcune sostanze e permettendo di ridurre il danno alla fibra muscolare, promuovendo così fenomeni di rigenerazione dei muscoli. Attualmente non esiste una cura definitiva per questa malattia genetica rara che ha una trasmissione recessiva legata al cromosoma X, ricorda Italfarmaco. La diagnosi avviene intorno ai 3 anni di età, a partire da difficoltà del bambino nel saltare e salire le scale. In pochi anni i sintomi progrediscono, richiedono il ricorso alla sedia a rotelle e comportano una significativa perdita di autonomia dei pazienti.

L'obiettivo raggiunto oggi afferma Filippo Buccella, fondatore di Parent Project Aps (parentproject.it) non è un punto di arrivo: la conferma che vent'anni di lavoro scientifico, clinico e di advocacy su questa molecola possono produrre risultati concreti. Parent Project ha supportato la ricerca su questa innovazione terapeutica fin da quando era ancora in fase universitaria, insieme a genitori, ricercatori e clinici italiani che hanno creduto in questo percorso. Allo stesso tempo è importante ricordare che non abbiamo ancora raggiunto una cura definitiva. È necessario proseguire affinché tutti i pazienti possano accedere alle terapie disponibili, e perché interi capitoli della vita adulta con Dmd dall'autonomia al lavoro, dalla cardiologia alla respirazione.

abbiano finalmente risposte adeguate dal sistema. La nostra comunità, in questi trent'anni, ha contribuito a creare le condizioni perché tutti i pazienti possano accedere alle terapie disponibili.

La novità terapeutica givinostat si legge nella nota rappresenta una storia di eccellenza scientifica italiana, perché l'Italia ha guidato fin dalle prime fasi la ricerca e sviluppo del nuovo farmaco a livello internazionale. Questa approvazione commenta Francesco Di Marco, Ceo di Italfarmaco ci riempie di soddisfazione e rappresenta una tappa importante del percorso che stiamo compiendo in un ambito complesso come quello delle malattie rare, dove esistono tante sfide ancora aperte che richiedono coraggio e visione per dare nuove risposte a chi ancora troppo spesso si sente dimenticato. Vedere questa innovazione, frutto della ricerca italiana, arrivare ai pazienti conclude " per noi uno stimolo a fare sempre di più¹, verso nuovi traguardi terapeutici".

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Aprile 14, 2026

Autore

redazione