

# Prix Galien Italia a Italfarmaco per terapia in malattia rara

## Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Givinostat, molecola che â??ha dimostrato negli studi clinici di rallentare la progressione della distrofia muscolare di Duchenneâ?• grazie a un nuovo meccanismo di azione, vince il Prix Galien Italia nella categoria â??Malattie Rareâ??. Il farmaco â?? informa una nota â?? rappresenta una storia di eccellenza scientifica italiana ed Ã¨ il risultato della ricerca e sviluppo di Italfarmaco. Lâ??assegnazione del Premio Ã¨ avvenuta ieri a Torino.

â??La vittoria del Prix Galien premia non solo una molecola innovativa come givinostat, ma anche una storia imprenditoriale e scientifica costruita nel tempo attraverso investimenti costanti nella ricerca e nello sviluppo â?? spiega Francesco Di Marco, Group Ceo -. Il riconoscimento assume un significato ancora piÃ¹ importante, perchÃ© arriva in unâ??area caratterizzata da bisogni medici rilevanti e da una forte necessitÃ  di innovazione, dove per lungo tempo le opzioni terapeutiche disponibili sono state limitate. Questo risultato valorizza il percorso di innovazione intrapreso da Italfarmaco e la capacitÃ  della ricerca italiana di generare progresso scientifico e tradurlo in soluzioni terapeutiche concrete per i pazientiâ?•.

â??Questo prestigioso riconoscimento ci riempie di orgoglio â?? afferma Julie De Santis, membro del Consiglio di amministrazione di Italfarmaco Holding -. Italfarmaco fu fondata nel 1938 a Milano. Forti della nostra tradizione familiare, siamo guidati da una visione a lungo termine, profondamente radicata nella nostra eredità  e sostenuta da un team internazionale. In questi 88 anni lâ??azienda ha costantemente investito in ricerca e sviluppo e givinostat Ã¨ il risultato di questo impegno. Vogliamo condividere il Prix Galien con i clinici e le associazioni pazienti che hanno contribuito in modo determinante allo sviluppo della molecola. Il nostro obiettivo Ã¨ fornire risposte ai bisogni clinici ancora insoddisfatti, in particolare nelle malattie rare, e grazie a givinostat Ã¨ stato compiuto un importante passo avantiâ?•.

â??Frutto della ricerca italiana, givinostat â?? si legge nella motivazione del riconoscimento â?? rappresenta unâ??innovazione terapeutica nella distrofia muscolare di Duchenne perchÃ© introduce un meccanismo dâ??azione diverso e indipendente dalla specifica mutazione genetica, con potenziale

applicabilitÃ  ad unâ??ampia popolazione di pazienti eleggibili secondo le indicazioni autorizzate. In associazione ai corticosteroidi, ha dimostrato di rallentare la progressione della malattia e di contribuire al mantenimento piÃ¹ prolungato della funzionalitÃ  motoria e dellâ??autonomia, rispondendo a un bisogno terapeutico rilevante nel campo delle malattie rare, con un impatto significativo sulla qualitÃ  di vita dei pazienti e delle loro famiglieâ?•.

La distrofia muscolare di Duchenne Ã¨ una rara malattia genetica neuromuscolare che colpisce quasi esclusivamente i bambini di sesso maschile ed Ã¨ causata dallâ??assenza o da grave carenza della distrofina. Quando questa proteina Ã¨ assente o non funziona correttamente, le fibre muscolari diventano piÃ¹ fragili e, nel tempo, si attiva un processo infiammatorio con sostituzione del tessuto muscolare con tessuto fibroso.

â??La progressione della malattia determina nel tempo una perdita significativa della forza muscolare, della capacitÃ  di movimento e dellâ??autonomia â?? sottolinea Eugenio Maria Mercuri, ordinario presso lâ??UniversitÃ  Cattolica del Sacro Cuore -. I pazienti affrontano anche gravi complicanze come cardiomiopatie, problemi respiratori e neurologici, con un significativo impatto sulla funzione cognitiva. Givinostat, che agisce sui meccanismi cellulari che contribuiscono al danno muscolare, Ã¨ un importante passo avanti nel trattamento, perchÃ© rallenta in modo significativo la progressione della malattia. Il farmaco appartiene alla classe degli inibitori dellâ??istone deacetilasi, proteine che regolano lâ??attivitÃ  di numerosi geni. Uno degli aspetti che caratterizzano la molecola Ã¨ la possibilitÃ  di offrire unâ??opportunitÃ  terapeutica indipendentemente dalla specifica mutazione genetica, ampliando cosÃ¬ il numero di pazienti che possono beneficiare del trattamento e contribuendo a preservare la funzionalitÃ  motoria e lâ??autonomia dei pazienti nel tempoâ?•.

default watermark

â??I risultati dei primi studi preclinici, su modelli di topo con distrofia muscolare di Duchenne, sono stati significativi â?? spiega Paolo Bettica, Chief Medical Officer, Drug Development Italfarmaco -. Da qui Ã¨ partito lo sviluppo clinico della molecola. In collaborazione con le associazioni dei pazienti e con i clinici italiani, abbiamo disegnato uno studio di fase 2 che ha permesso di valutare lâ??effetto di givinostat direttamente nel muscolo, grazie a biopsie muscolari eseguite dopo un anno di trattamento. Questo studio di fase 2 Ã¨ stato condotto interamente in Italia. I risultati osservati sono stati molto positivi, perchÃ© hanno replicato quanto osservato nel modello murino. Abbiamo quindi promosso uno studio registrativo internazionale di fase 3, Epidys, che ha dimostrato il beneficio di givinostat sia in termini funzionali sia nel muscolo, utilizzando la risonanza magnetica nucleare. Lâ??esperienza dei pazienti con distrofia muscolare di Duchenne e dei clinici Ã¨ stata determinante per individuare gli endpoint rilevanti delle sperimentazioni. Lâ??inibizione dellâ??istone deacetilasi Ã¨ stata studiata in diverse malattie, ma givinostat Ã¨ il primo farmaco della sua classe sviluppato per la distrofia muscolare di Duchenneâ?•.

â??Il riconoscimento ricevuto â?? conclude Francesco Di Marco â?? premia il valore scientifico della molecola e il suo contributo alla comunitÃ  Duchenne, che ha offerto un supporto fondamentale nella realizzazione degli studi clinici. Il Prix Galien rappresenta un momento di particolare rilevanza nel percorso di Italfarmaco, che ha saputo coniugare solide radici scientifiche e imprenditoriali con una costante vocazione allâ??innovazione. Il riconoscimento non costituisce un punto di arrivo, ma una tappa significativa di un percorso che continua. Rafforza infatti la missione di Italfarmaco di trasformare la ricerca scientifica in valore concreto per i pazienti e conferma il nostro impegno che va oltre lo

sviluppo di una terapia, abbracciando lâ??obiettivo piÃ¹ ampio di offrire nuove prospettive ai pazienti che convivono con la malattia e alle loro famiglieâ?•.

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

**Categoria**

1. Comunicati

**Tag**

1. Ultimora

**Data di creazione**
Novembre 4, 2026
**Autore**
redazione

default watermark