**PRANEŠIMAS SPAUDAI**

**Europos Komisija patvirtino „Duvyzat“**

**Diušeno raumenų distrofijai gydyti**

**Italijos farmacinė bendrovė** [**„Italfarmaco S.p.A.“**](https://www.italfarmaco.com) **birželio 10 d. pranešė, kad Europos Komisija (EK) suteikė sąlyginį leidimą prekiauti nauju histonų deacetilazės (HDAC) inhibitoriumi „Duvyzat“ (givinostatu). Jis yra patvirtintas Diušeno raumenų distrofija (DRD) sergantiems 6 metų ir vyresniems vaikštantiems pacientams, nepriklausomai nuo pagrindinės genų mutacijos, gydyti kartu su kortikosteroidais. Diušeno raumenų distrofija (DRD) yra reta, progresuojanti nervų ir raumenų liga, kurią sukelia DRD geno mutacijos.**

EK sprendimas priimtas po to, kai 2025 m. balandžio 25 d. Europos vaistų agentūros (EVA) Žmonėms skirtų vaistų komitetas (ŽSVK) pateikė [teigiamą nuomonę](https://www.globenewswire.com/news-release/2025/04/25/3068387/0/en/CHMP-recommends-EU-approval-for-Duvyzat-to-treat-Duchenne-muscular-dystrophy.html). Patvirtinimas taikomas visoms 27 ES valstybėms narėms, taip pat Islandijai, Lichtenšteinui ir Norvegijai. Dabar „Italfarmaco“ glaudžiai bendradarbiauja su nacionalinėmis valdžios institucijomis ir platinimo partneriais, kad būtų sudarytos palankesnės sąlygos laiku gauti „Duvyzat“ visoje ES.

„*Europoje DRD sergantys žmonės jau seniai laukia naujų gydymo būdų, galinčių pakeisti šios pražūtingos ligos eigą. Iki šiol buvo nedaug patvirtintų gydymo būdų, kuriais būtų galima gydyti pagrindinę DRD patologiją plačiajai pacientų populiacijai. Tai pasikeitė patvirtinus „Duvyzat“, kuris lėtina ligos progresavimą ir išsaugo raumenų funkciją − nepriklausomai nuo genų mutacijos, − veikdamas ligos mechanizmus*“, – sakė **„Italfarmaco“ grupės vyriausiasis medicinos direktorius, medicinos gydytojas, mokslų daktaras Paolo Bettica**. „*Esame pasiryžę glaudžiai bendradarbiauti su sveikatos priežiūros institucijomis ir DRD bendruomene, kad užtikrintume galimybę laiku gauti šį svarbų naują gydymą visoje Europoje*.“

„*EK suteiktas „Duvyzat“ patvirtinimas yra jo terapinio potencialo pripažinimas ir „Italfarmaco“ mokslinės kompetencijos bei įsipareigojimo diegti naujoves retųjų ligų srityje įrodymas*“, – sakė **„Italfarmaco Holding“ prezidentas ir „Italfarmaco“ grupės pirmininkas dr.  Francesco De Santis**. „*Šis svarbus įvykis reiškia, kad naujas gydymas bus prieinamas daugeliui DRD sergančių pacientų. „Italfarmaco“ šis pasiekimas dar kartą patvirtina, kad mes orientuojamės į gydymo metodų, galinčių reikšmingai pakeisti žmonių gyvenimus, tobulinimą.“*

Sprendimas priimtas remiantis daugiacentrio, atsitiktinių imčių, dvigubai koduoto, placebu kontroliuojamo [3 fazės EPIDYS tyrimo (NCT02851797) teigiamais rezultatais](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). EPIDYS tyrimo metu 179 vaikštantys šešerių metų ir vyresni berniukai, be įprastinio gydymo kortikosteroidais, du kartus per parą gavo „Duvyzat“ arba placebą. EPIDYS tyrimo metu pasiekta pirminė vertinamoji baigtis ir pademonstruotas statistiniu ir klinikiniu požiūriu reikšmingas laiko, per kurį tiriamieji įveikia keturis laiptelius, skirtumas. Be to, pademonstruoti palankūs „Duvyzat“ rezultatai pagal antrines vertinamąsias baigtis, įskaitant „North Star Ambulatory Assessment“ (NSAA) ir riebalų infiltracijos įvertinimą magnetinio rezonanso tomografu. Gydymas „Duvyzat“ buvo siejamas su 40 proc. mažesniu bendru balų už NSAA elementus praradimu. Tai rodo, kad „Duvyzat“ gali atitolinti ligos progresavimą sergantiems asmenims. Dauguma nepageidaujamų poveikių, pastebėtų vartojant „Duvyzat“, buvo lengvi arba vidutinio sunkumo. Šio tyrimo rezultatai buvo paskelbti leidinyje *„The Lancet Neurology“* 2024 m. kovą1. Ilgalaikiai vykdomo EPIDYS papildomo tyrimo duomenys, palyginti su natūralios ligos dinamikos grupėmis taikant panašiausių atvejų analizės metodą, parodė, kad vidutinis amžius, kai pacientai nustojo vaikščioti, buvo 18,1 metų „Duvyzat“ gaunančių tiriamųjų grupėje, palyginti su 15,2 metų kontrolinėje grupėje2.

EK suteikė sąlyginį leidimą prekiauti „Duvyzat“ ES. Patvirtinus „Duvyzat“, juo bus galima gydyti DRD sergančius 6 metų ir vyresnius vaikštančius pacientus, kol „Italfarmaco“ atliks papildomus klinikinius tyrimus, kurių tikslas – dar labiau patvirtinti ir apibūdinti jo terapinę naudą. Už ES ribų 2024 m. kovą JAV Maisto ir vaistų administracija (FDA) patvirtino „Duvyzat“ 6 metų ir vyresniems pacientams gydyti. Jungtinėje Karalystėje Vaistų ir sveikatos priežiūros produktų reguliavimo agentūra (MHRA) patvirtino „Duvyzat“ 6 metų ir vyresniems vaikštantiems pacientams bei suteikė sąlyginį rinkodarinį leidimą nevaikštančių pacientų atžvilgiu.

###

**Apie Diušeno raumenų distrofiją**

Diušeno raumenų distrofija (DRD) yra reta, progresuojanti nervų ir raumenų liga, kurią sukelia *DRD* geno mutacijos. Dėl *DRD* geno mutacijos negaminamas funkcinis distrofinas, todėl su distrofinu susijęs baltymų kompleksas (DAPC) suyra. Dėl šios priežasties raumenų skaidulos tampa jautresnės pažeidimams, o raumenų ląstelėse padidėja histono deacetilazės (HDAC) kiekis, todėl blokuojamas svarbių genų, reikalingų raumenims palaikyti ir atkurti, aktyvinimas. Dėl to raumenų skaidulos nuolat pažeidžiamos, o tai sukelia lėtinį uždegimą ir prastą atsinaujinimą. Laikui bėgant raumenų ląstelės žūsta, o jų vietoje atsiranda randinis audinys ir riebalai3–6. DRD dažniausiai serga vyrai, o simptomai paprastai pasireiškia nuo dvejų iki penkerių metų amžiaus. Ligai progresuojant, raumenų silpnumas didėja, todėl tampa sunku vaikščioti ir galiausiai netenkama galimybės judėti. Ilgainiui taip pat pažeidžiami širdies ir kvėpavimo raumenys, kurie yra pagrindinė ankstyvos mirties priežastis7. DRD yra viena sunkiausių ir labiausiai paplitusių vaikų raumenų distrofijos formų, pasaulyje pasireiškiančių maždaug 1 iš 5 050 berniukų8.

**Apie „Duvyzat***®*“

„Duvyzat“ buvo atrastas „Italfarmaco“ vykdant mokslinius tyrimus ir plėtrą bendradarbiaujant su „Telethon“ ir „Duchenne Parent Project“ (Italija). „Duvyzat“ yra per burną vartojamas histonų deacetilazės (HDAC) inhibitorius, kuris reguliuoja per didelį HDAC aktyvumą, būdingą DRD paveiktų asmenų raumenims. Taip jis padeda atkurti pagrindinių genų ir biologinių procesų, būtinų raumenims palaikyti ir atkurti, raišką. Jo veikimo mechanizmas nepriklauso nuo konkrečios ligą sukeliančios distrofino geno mutacijos. 9,10

**Apie ITALFARMACO**

1938 m. Milane (Italija) įkurta „Italfarmaco“ yra privati pasaulinė farmacijos bendrovė, sėkmingai sukūrusi ir patvirtinusi daugybę farmacijos produktų visame pasaulyje. „Italfarmaco“ grupė vykdo veiklą daugiau kaip 90-yje šalių per tiesiogiai kontroliuojamas arba susijusias įmones. Bendrovė yra farmacijos mokslinių tyrimų, produktų kūrimo, gamybos ir prekybos jais lyderė, sėkmingai dirbanti daugelyje gydymo sričių, įskaitant imunoonkologiją, ginekologiją, neurologiją, širdies ir kraujagyslių ligas bei retąsias ligas. „Italfarmaco“ retųjų ligų skyrius apima programas, skirtas Diušeno raumenų distrofijai, Bekerio raumenų distrofijai, šoninei amiotrofinei sklerozei ir policitemijai vera.

**Apie „Medis“**

[„Medis“](https://www.medis.com/) yra patikima pasaulyje pirmaujančių inovatyvių farmacijos ir biotechnologijų bendrovių prekybos partnerė, veikianti kaip jų išskirtinė partnerė Vidurio ir Rytų Europoje bei Graikijoje. Bendrovės „Medis“, kurios pagrindinė būstinė yra Liublianoje (Slovėnija), specializacija yra visapusiškas gyvenimą keičiančių ir inovatyvių gydymo būdų pateikimas rinkai, užtikrinant geresnę prieigą prie modernaus, veiksmingo ir saugaus gydymo pacientams iš 19-os regiono šalių. „Medis“ yra išskirtinė „Italfarmaco“ gaminamo givinostato platintoja 17-oje Vidurio ir Rytų Europos šalių, įskaitant Baltijos šalis.

***Žiniasklaidos užklausos:***

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

***Kitos užklausos:***

Samantha Parker | Pacientų teisių gynimo ir komunikacijos vadovė | [RDEnquiries@italfarmacogroup.com](mailto:RDEnquiries@italfarmacogroup.com)

***„Medis“:***

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