COMUNICATO STAMPA

PRIX GALIEN ITALIA: GIVINOSTAT VINCE NELLA CATEGORIA "MALATTIE RARE"

"FRUTTO DELLA RICERCA ITALIANA, RALLENTA LA PROGRESSIONE DELLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE"

Centrale la collaborazione con i clinici nello sviluppo della terapia e il contributo delle associazioni pazienti. Francesco Di Marco, CEO di Italfarmaco Group: "Questo riconoscimento evidenzia il valore scientifico della molecola e il percorso di innovazione intrapreso dall'azienda". Il farmaco offre un'opportunità di trattamento indipendentemente dalla specifica mutazione genetica, ampliando così il numero di pazienti che possono beneficiare del trattamento

Milano, 04 novembre 2026 – Givinostat, molecola che "ha dimostrato negli studi clinici di rallentare la progressione della distrofia muscolare di Duchenne" grazie a un nuovo meccanismo di azione, vince il Prix Galien Italia nella categoria "Malattie Rare". Il farmaco rappresenta una storia di eccellenza scientifica italiana ed è il risultato della ricerca e sviluppo di Italfarmaco. L'assegnazione del Premio è avvenuta ieri a Torino.

"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 – spiega **Francesco Di Marco**, Group CEO -. Il riconoscimento assume un significato ancora più importante, perché arriva in un'area caratterizzata da bisogni medici rilevanti e da una forte necessità 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 capacità della ricerca italiana di generare progresso scientifico e tradurlo in soluzioni terapeutiche concrete per i pazienti".

"Questo prestigioso riconoscimento ci riempie di orgoglio – 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 l'azienda ha costantemente investito in ricerca e sviluppo e givinostat è 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 è fornire risposte ai bisogni clinici ancora insoddisfatti, in particolare nelle malattie rare, e grazie a givinostat è stato compiuto un importante passo avanti".

"Frutto della ricerca italiana, givinostat – si legge nella motivazione del riconoscimento - rappresenta un'innovazione terapeutica nella distrofia muscolare di Duchenne perché introduce un meccanismo d'azione diverso e indipendente

dalla specifica mutazione genetica, con potenziale applicabilità ad un'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 più prolungato della funzionalità motoria e dell'autonomia, rispondendo a un bisogno terapeutico rilevante nel campo delle malattie rare, con un impatto significativo sulla qualità di vita dei pazienti e delle loro famiglie".

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

"La progressione della malattia determina nel tempo una perdita significativa della forza muscolare, della capacità di movimento e dell'autonomia – sottolinea **Eugenio Maria Mercuri,** Professore Ordinario presso l'Università 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, è un importante passo avanti nel trattamento, perché rallenta in modo significativo la progressione della malattia. Il farmaco appartiene alla classe degli inibitori dell'istone deacetilasi, proteine che regolano l'attività di numerosi geni. Uno degli aspetti che caratterizzano la molecola è la possibilità di offrire un'opportunità terapeutica indipendentemente dalla specifica mutazione genetica, ampliando così il numero di pazienti che possono beneficiare del trattamento e contribuendo a preservare la funzionalità motoria e l'autonomia dei pazienti nel tempo".

"I risultati dei primi studi preclinici, su modelli di topo con distrofia muscolare di Duchenne, sono stati significativi – spiega **Paolo Bettica**, Chief Medical Officer, Drug Development Italfarmaco -. Da qui è 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 l'effetto di givinostat direttamente nel muscolo, grazie a biopsie muscolari eseguite dopo un anno di trattamento. Questo studio di fase 2 è stato condotto interamente in Italia. I risultati osservati sono stati molto positivi, perché 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. L'esperienza dei pazienti con distrofia muscolare di Duchenne e dei clinici è stata determinante per individuare gli endpoint rilevanti delle sperimentazioni. L'inibizione dell'istone deacetilasi è stata studiata in diverse malattie, ma givinostat è il primo farmaco della sua classe sviluppato per la distrofia muscolare di Duchenne".

"Il riconoscimento ricevuto – conclude **Francesco Di Marco** - premia il valore scientifico della molecola e il suo contributo alla comunità 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 all'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 l'obiettivo più ampio di offrire nuove prospettive ai pazienti che convivono con la malattia e alle loro famiglie".

Italfarmaco S.p.A.

Fondata nel 1938 a Milano, in Italia, Italfarmaco è un'azienda farmaceutica globale privata che ha guidato con successo lo sviluppo e l'approvazione di numerosi prodotti farmaceutici in tutto il mondo. Il gruppo Italfarmaco opera in più di 90 Paesi attraverso società direttamente controllate o affiliate. L'azienda è leader nella ricerca farmaceutica, nello sviluppo dei prodotti, nella produzione e nella commercializzazione, con comprovato successo in molteplici aree terapeutiche, tra cui oncologia, ginecologia, neurologia, malattie cardiovascolari e malattie rare. L'unità di Italfarmaco dedicata alle malattie rare comprende programmi per la distrofia muscolare di Duchenne, la distrofia muscolare di Becker, la sclerosi laterale amiotrofica e la policitemia vera.

Ufficio stampa
Intermedia
intermedia@intermedianews.it
030.226105 - 3351892975 – 335265394