

Anuncio de la Compañía



ITF Therapeutics LLC anuncia la disponibilidad comercial de DUVYZAT™ (givinostat) en los EE. UU. para el tratamiento de pacientes con distrofia muscular de Duchenne

Primer tratamiento no esteroideo aprobado para pacientes con seis años de edad o más con distrofia muscular de Duchenne (DMD), independientemente de la mutación genética, que ahora se encuentra disponible en los EE. UU.

ITF también anuncia el lanzamiento del programa ITF ARC para servicios de acceso, recursos y atención para pacientes (*Access, Resources and Care, ARC*) para ofrecer apoyo y recursos educativos a los pacientes y sus familias


CONCORD, Mass., 25 DE JULIO DE 2024 — ITF Therapeutics LLC, el grupo comercial de enfermedades raras con sede en los EE. UU. de Italfarmaco, anunció hoy el lanzamiento comercial en los EE. UU. de DUVYZAT™ (givinostat), un inhibidor de la histona deacetilasa, para el tratamiento de pacientes con seis años de edad o más que tienen distrofia muscular de Duchenne (DMD). DUVYZAT fue aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos (*Food and Drug Administration, FDA*) de los EE. UU. el 21 de marzo de 2024.

“Luego de la aprobación de DUVYZAT por parte de la FDA, nuestro equipo se ha centrado en poner esta nueva opción de tratamiento a disposición de la comunidad con DMD lo más rápido posible. También hemos implementado equipos de campo y servicios y plataformas de comunicación fáciles de explorar para proporcionar a los pacientes, cuidadores y médicos la información y los recursos que necesitan para tomar decisiones informadas sobre el tratamiento de la DMD con DUVYZAT. Esto incluye nuestro programa de servicios para pacientes recientemente lanzado, el ITF ARC, que ofrece información útil en áreas que incluyen navegar por la cobertura del seguro. Estamos muy agradecidos por la orientación que recibimos de los líderes de defensoría de la DMD durante el desarrollo del ITF ARC. Sus aportes han sido fundamentales para ayudarnos a diseñar el conjunto de servicios que ofrecemos a la comunidad,” dijo Matt Trudeau, presidente de ITF Therapeutics. “También expresamos nuestro agradecimiento a las personas que viven con DMD que participaron en nuestros ensayos clínicos, sus familias, los líderes de defensoría de la DMD y los profesionales de la salud que han desempeñado un papel fundamental en ayudarnos a poner DUVYZAT a disposición de la comunidad con DMD.”

Para ayudar a permitir el acceso al tratamiento con DUVYZAT a los pacientes aptos en los EE. UU., el programa ITF ARC de ITF Therapeutics incluye servicios para ayudar a los pacientes y sus familias a atravesar los desafíos del seguro, apoyo farmacéutico personalizado, asistencia financiera y de acceso para pacientes elegibles, materiales educativos y otros recursos. Para obtener más información sobre los servicios de apoyo al paciente ofrecidos a través del ITF ARC, visite www.DUVYZAT.com o llame al 1-855-448-3272.

Después de confirmar que DUVYZAT es una terapia adecuada para un paciente, los médicos pueden visitar www.DUVYZAT.com para acceder a información sobre la prescripción de DUVYZAT e iniciar el proceso de cumplimiento de recetas a través de PANTHERx® Rare, un proveedor de farmacias especializadas líder que se centra en brindar apoyo a pacientes con enfermedades raras.

La aprobación de DUVYZAT por parte de la FDA fue respaldada por los resultados del ensayo clínico esencial de fase 3, multicéntrico, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo EPIDYS (NCT02851797). En el estudio EPIDYS, un total de 179 niños de sexo masculino ambulatorios de seis años de edad o más recibieron tratamiento con glucocorticoesteroides, y DUVYZAT dos veces al día o un placebo. El estudio EPIDYS



ITF Therapeutics LLC
300 Baker Avenue, Suite 280
Concord, MA 01742
www.itftherapeutics.com

Italfarmaco
www.italfarmaco.com
C-DUV-US-0020 07/2024

Anuncio de la Compañía



cumplió con su criterio de valoración primario, lo que demuestra que los pacientes tratados con DUVYZAT mostraron una diferencia estadísticamente significativa y clínicamente importante en el tiempo para completar la evaluación de subir cuatro escalones. DUVYZAT también mostró resultados favorables en comparación con el placebo en los criterios de valoración secundarios clave, incluida la evaluación ambulatoria North Star (NSAA) y la evaluación de infiltración de grasa mediante espectroscopia por resonancia magnética. La mayoría de los efectos adversos observados con DUVYZAT fueron de gravedad leve a moderada. Los resultados de este estudio se [publicaron](#) en *The Lancet Neurology* en marzo de 2024.

DUVYZAT recibió revisión prioritaria, y las designaciones de fármaco huérfano y enfermedad pediátrica rara por parte de la FDA. Actualmente, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) está revisando una solicitud de autorización de comercialización para givinostat como posible tratamiento contra la DMD. Italfarmaco tiene presencia internacional y ha iniciado o tiene previsto iniciar conversaciones con organismos reguladores en otras regiones geográficas para respaldar la revisión de los datos clínicos de givinostat.

Para obtener más información sobre DUVYZAT, visite www.DUVYZAT.com.

Acerca de la distrofia muscular de Duchenne (DMD)

La DMD es una enfermedad genética neuromuscular grave caracterizada por debilidad muscular progresiva y degeneración, y es el tipo más frecuente de distrofia muscular a nivel mundial. La DMD es causada por mutaciones en el gen de la distrofina que provocan la ausencia de una proteína distrofina funcional. Sin distrofina, las miofibras son altamente susceptibles a lesiones y esta lesión muscular continua generalmente provoca inflamación crónica, deterioro de la regeneración muscular y reemplazo muscular por tejido fibrótico y adiposo. La enfermedad afecta principalmente a los niños, y los síntomas generalmente se observan por primera vez entre los dos y los cinco años de edad. Los síntomas empeoran con el tiempo y afectan la capacidad de caminar. Finalmente, se ven afectados los músculos cardíacos y respiratorios, que son las dos causas principales de muerte prematura. La incidencia de la DMD es de aproximadamente uno de cada 3500 a 6000 varones nacidos en todo el mundo.

Acerca de DUVYZAT™ (givinostat)

DUVYZAT es una terapia aprobada por la FDA de los EE. UU. indicada para el tratamiento de pacientes con seis años de edad o más con DMD que se descubrió a través de los esfuerzos de investigación y desarrollo de Italfarmaco en colaboración con Telethon y el Proyecto de Padres de Duchenne (Italia). DUVYZAT es un inhibidor de la histona deacetilasa (HDAC) que modula la actividad desregulada de las HDAC en el músculo distrófico, lo que es una consecuencia importante de la falta de distrofina asociada con la DMD. Aunque se desconoce el mecanismo de acción exacto de DUVYZAT, se cree que inhibe la hiperactividad patológica de las HDAC para abordar la cascada de eventos que provocan daño muscular, lo que contrarresta la patología de la enfermedad y retrasa el deterioro muscular.



Anuncio de la Compañía



Acerca de ITF Therapeutics LLC

ITF Therapeutics se lanzó en enero de 2024 como el grupo comercial de los Estados Unidos de Italfarmaco centrado en el desarrollo y la comercialización de productos para tratar enfermedades raras, incluida la distrofia muscular de Duchenne. Aprovechando un legado basado en la colaboración y la innovación, ITF Therapeutics se esfuerza por asociarse con líderes de las comunidades de tratamiento y defensa del paciente para garantizar que nuestros programas reflejen y respalden sus necesidades y objetivos únicos. El establecimiento de ITF Therapeutics también refleja el objetivo de Italfarmaco de crear un equipo de expertos de primera clase que compartan una pasión por causar un impacto positivo en las comunidades de enfermedades raras. Para obtener más información, visite www.itftherapeutics.com.

Acerca de Italfarmaco

Fundada en 1938 en Milán, Italia, Italfarmaco es una compañía farmacéutica global privada que ha liderado el desarrollo y la aprobación exitosa de muchos productos farmacéuticos en todo el mundo. El grupo Italfarmaco opera en más de 90 países a través de compañías directamente controladas o afiliadas. La compañía es líder en investigación farmacéutica, desarrollo de productos, producción y comercialización con éxito comprobado en muchas áreas terapéuticas, incluidas inmunooncología, ginecología, neurología, enfermedades cardiovasculares y enfermedades raras. La unidad de enfermedades raras de Italfarmaco incluye programas en distrofia muscular de Duchenne, distrofia muscular de Becker, esclerosis lateral amiotrófica y policitemia verdadera. Para obtener más información, visite www.italfarmaco.com.

Indicación e Información importante de seguridad

¿Qué es DUVYZAT?

DUVYZAT es un medicamento con receta médica que se utiliza para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en personas de 6 años de edad en adelante.

Se desconoce si DUVYZAT es seguro y eficaz en niños menores de 6 años de edad.

Información importante de seguridad

¿Cuál es la información más importante que debo conocer sobre DUVYZAT?

- **Recuentos bajos de plaquetas en sangre (trombocitopenia).** Las plaquetas son importantes para la coagulación de la sangre, y una disminución de su número puede provocar un aumento del riesgo de hemorragia o hematomas. Su profesional de la salud comprobará su recuento sanguíneo antes de iniciar DUVYZAT y regularmente durante el tratamiento para detectar cualquier signo de trombocitopenia. Llame a su profesional de la salud de inmediato si observa alguna hemorragia inusual o pequeñas manchas rojas o moradas en la piel llamadas petequias. Su profesional de la salud puede cambiarle la dosis de DUVYZAT si sus recuentos de plaquetas siguen siendo bajos; o puede interrumpir su tratamiento con DUVYZAT.



ITF Therapeutics LLC
300 Baker Avenue, Suite 280
Concord, MA 01742
www.itftherapeutics.com

Italfarmaco
www.italfarmaco.com

C-DUV-US-0020 07/2024

Anuncio de la Compañía



- **Aumento de los niveles de grasa (triglicéridos) en la sangre.** Es posible que no tenga ningún síntoma, por lo que su profesional de la salud le hará análisis de sangre antes de comenzar el tratamiento con DUVYZAT y con regularidad durante este para comprobar sus niveles de triglicéridos. Su profesional de la salud puede cambiarle la dosis de DUVYZAT si sus niveles de triglicéridos continúan siendo altos; o puede interrumpir su tratamiento con DUVYZAT.
- **Deposiciones acuosas flojas frecuentes (diarrea) y vómitos.** DUVYZAT puede provocar vómitos y diarrea de moderada a grave. Si se produce diarrea, debe hacer un seguimiento de la frecuencia y la gravedad de sus síntomas de diarrea, beber mucho líquido y ponerse en contacto con su profesional de la salud. Su profesional de la salud puede cambiarle la dosis de DUVYZAT si la diarrea no se puede tratar o no desaparece. Su profesional de la salud también puede interrumpir su tratamiento con DUVYZAT.

Antes de recibir DUVYZAT, informe a su profesional de la salud de todas sus afecciones médicas, incluido si:

- tiene algún problema cardíaco o si se administra algún medicamento que pudiera aumentar sus posibilidades de ritmo cardíaco irregular.
- tiene algún problema hemorrágico.

Informe a su profesional de la salud de todos los medicamentos que reciba, incluidos los medicamentos con receta médica y de venta libre, vitaminas y suplementos a base de hierbas.

Administrarse DUVYZAT junto con otros medicamentos puede afectar a los demás. Administrarse DUVYZAT con otros medicamentos puede causar efectos secundarios serios. No empiece a administrarse ni deje otros medicamentos sin hablar con su profesional de la salud.

DUVYZAT puede causar efectos secundarios serios, incluidos:

- **Ver “¿Cuál es la información más importante que debo conocer sobre DUVYZAT?”**
- **Cambios en la actividad eléctrica del corazón denominados prolongación del intervalo QT.** La prolongación del intervalo QT puede aumentar el riesgo de desarrollar un tipo de ritmo cardíaco irregular conocido como Torsades de Pointes. Llame a su profesional de la salud de inmediato si se siente débil, tiene un latido cardíaco irregular, se siente mareado o pierde la consciencia.

Los efectos secundarios más frecuentes de DUVYZAT fueron diarrea, náuseas, vómitos, dolor de estómago, recuento bajo de plaquetas en sangre, aumento del nivel de grasa en sangre y fiebre.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de DUVYZAT. Para obtener más información, pregunte a su profesional de la salud o farmacéutico.

Llame a su médico para obtener asesoramiento sobre los efectos secundarios. Puede notificar los efectos secundarios a la FDA al 1-800-FDA-1088.



Anuncio de la Compañía



Consulte la [Información de prescripción completa](#) y la [Guía del medicamento](#).

DUVYZAT es una marca comercial registrada de Italfarmaco S.p.A.

EE. UU.

Consultas de los medios: Brian Connor | +1 212 253 8881 | bconnor@berrypr.com

Otras consultas: Líder de comunicaciones y defensoría de los pacientes en los EE. UU. | c.allen@itfftherapeutics.com

Global

Consultas de los medios: Charlotte Spitz o Jacob Verghese | +49 (0)151 7441 6179 | italfarmaco@trophic.eu

Otras consultas: Líder de comunicaciones y defensoría de los pacientes | s.parker@italfarmacogroup.com

