

Dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) :

Italfarmaco a déposé un recours gracieux relatif à l'avis de la Commission de la transparence sur DUVYZAT® (givinostat)

- Duvyzat® (givinostat) dispose d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle en Europe, sur la base des résultats de l'essai de phase III EPIDYS dans la dystrophie musculaire de Duchenne.
- 49 patients bénéficient actuellement de Duvyzat® en France dans le cadre d'un accès compassionnel, reflétant l'intérêt clinique pour cette option thérapeutique.
- La Commission de Transparence a rendu le 4 février 2026, un avis défavorable à la prise en charge de Duvyzat® en France. Italfarmaco a déposé un recours gracieux auprès de la Haute Autorité de Santé (HAS).

Meudon (France), 6 mai 2026 – Le laboratoire **Italfarmaco**, par l'intermédiaire d'Effik, son **exploitant en France**, a soumis le 9 avril 2026 un recours gracieux visant le retrait de l'avis adopté le 4 février 2026 dans le cadre de la demande d'inscription au remboursement de DUVYZAT® 8,86 mg/ml, suspension buvable. Italfarmaco inscrit ce recours dans le cadre du dialogue scientifique prévu par la procédure d'évaluation.

Duvyzat® est un inhibiteur d'histone désacétylase (HDAC), indiqué dans le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne chez les patients ambulants âgés de 6 ans et plus, recevant un traitement concomitant par corticostéroïdes.

Le 6 juin 2025, le médicament a obtenu une AMM européenne conditionnelle, fondée sur les données de l'essai de phase III EPIDYS qui a démontré un effet statistiquement significatif chez les patients ambulants âgés de 6 ans et plus, recevant un traitement concomitant par corticostéroïdes, marquant une avancée pour les patients atteints de DMD. Par ailleurs, un programme d'accès compassionnel a été ouvert dès le 25 février 2025, permettant aux patients français d'accéder au traitement avant sa prise en charge dans le droit commun. À ce jour, 49 patients en France bénéficient de Duvyzat® dans ce cadre. Italfarmaco souhaite assurer une continuité de traitement à titre gracieux pendant un an pour ces patients, avec l'espoir que, demain, l'ensemble des patients français puisse bénéficier de Duvyzat® dans un cadre élargi.

Un besoin médical à couvrir

Bien que la *Commission de Transparence* reconnaisse la gravité de la DMD et l'existence d'un besoin médical encore partiellement couvert, elle a conclu que le « *rapport efficacité/effets indésirables du givinostat était mal établi* », en raison d'une quantité

Annonce d'entreprise

Communiqué de presse



d'effet jugée faible, d'une pertinence clinique des critères d'efficacité discutée et d'un profil de tolérance marqué par des effets digestifs et hématologiques.

La Commission de la Transparence a conclu à un service médical rendu insuffisant pour Duvyzat® dans son indication d'AMM ce qui équivaut à un refus de prise en charge par la solidarité nationale.

Au regard des éléments disponibles, ce traitement répond pourtant à un besoin médical majeur dans une maladie rare, grave et évolutive tel que la DMD. À ce jour, Duvyzat® est le premier médicament ayant démontré des résultats positifs dans une étude de phase III dans cette indication et demeure le seul médicament approuvé dans l'Union européenne dans le traitement de la DMD.

Italfarmaco souhaite rappeler qu'au regard de l'ensemble des données recueillies dans les études cliniques — dont EPIDYS et l'étude de suivi long terme OLE — ainsi que ce qui a pu être observé en vie réelle, avec plus de 2000 patients traités dans le monde, le rapport/bénéfice risque du traitement apparaît favorable. Les données disponibles confirment le profil de sécurité observé dans l'étude pivot et apportent des éléments complémentaires sur la prise en charge du traitement en vie réelle, notamment grâce à une surveillance stricte permettant une gestion maîtrisée des potentiels effets indésirables¹.

Duvyzat® : un accès déjà étendu à l'international

Duvyzat® a obtenu un accès au remboursement dans plusieurs pays en Europe et aux États-Unis, et les procédures d'évaluation sont en cours dans d'autres pays.

Cette dynamique positive autour de cette option thérapeutique innovante souligne l'importance du médicament pour les familles concernées et la volonté des États de faciliter l'accès à de nouvelles thérapies dans la DMD.

Et demain ?

Italfarmaco réaffirme son engagement en faveur de l'amélioration de la prise en charge de la DMD en France, à travers la consolidation et le développement de plusieurs programmes d'études :

- Italfarmaco poursuit la collecte de données en vie réelle chez les patients bénéficiant d'un accès compassionnel, afin de contribuer à une meilleure compréhension de l'utilisation du traitement en pratique clinique.

- L'étude d'extension en ouvert OLE, dédiée à l'évaluation de tolérance et de l'efficacité à long terme, se poursuit avec la participation de patients français suivis depuis plusieurs années, renforçant la connaissance clinique indispensable au développement futur de nouvelles indications.
- L'étude « ULYSSES », dédiée aux patients non ambulants âgés de 9 à 17 ans, est actuellement déployées sur trois centres en France et a déjà inclus 19 patients. L'essai devrait se terminer en 2029.
- Une étude pédiatrique est également en cours, chez les enfants atteints de DMD âgés de 2 à <6 ans et devrait se terminer début 2028.

Italfarmaco conduit également d'autres études cliniques dans différentes indications, notamment en hématologie et dans la maladie de Becker, incluant des patients en France, illustrant la continuité de son engagement scientifique.

À propos de la dystrophie musculaire de Duchenne

La dystrophie musculaire de Duchenne est une maladie neuromusculaire rare et progressive causée par des mutations du gène *DMD*. Les mutations du gène *DMD* empêchent la production de dystrophine fonctionnelle, entraînant le désassemblage du complexe protéique associé à la dystrophine. Cela rend les fibres musculaires plus vulnérables aux dommages et augmente les concentrations d'histone désacétylase dans les cellules musculaires, ce qui bloque l'activation de gènes importants nécessaires à l'entretien et à la régénération des muscles. En conséquence, les fibres musculaires subissent des dommages continus, entraînant une inflammation chronique et une faible régénération. Au fil du temps, les cellules musculaires meurent et sont remplacées par du tissu cicatriciel et de la graisse^{2,3}. La DMD touche principalement les garçons et les symptômes apparaissent généralement entre deux et cinq ans. Au fur et à mesure que la maladie progresse, la faiblesse musculaire s'aggrave, provoquant des difficultés à marcher et, jusqu'à la perte totale de la marche. Avec le temps, les muscles cardiaques et respiratoires sont également atteints, ce qui constitue la principale cause de décès prématuré⁴. La DMD est l'une des formes les plus graves et les plus fréquentes de dystrophie musculaire infantile. Son incidence est estimée à environ 1 cas pour 3 300 à 5 000 naissances de garçons, soit environ 150 à 200 nouveaux cas par an en France⁵.

A propos de Duvyzat®

Duvyzat® a été découvert grâce aux efforts de recherche et de développement d'Italfarmaco, en collaboration avec le Téléthon et "Duchenne Parent Project" (Italie).

Annonce d'entreprise

Communiqué de presse



Duvyzat® est un inhibiteur d'histone désacétylase (HDAC) administré par voie orale, qui régule l'activité excessive des HDAC, caractéristique des muscles atteints de DMD. En agissant ainsi, il contribue à restaurer l'expression de gènes clés et de processus biologiques essentiels à l'entretien et à la réparation des muscles. Son mécanisme d'action est indépendant du type spécifique de mutation du gène de la dystrophine à l'origine de la maladie^{6,7}.

À propos d'ITALFARMACO®

Fondée en 1938 à Milan, en Italie, Italfarmaco est une entreprise pharmaceutique privée internationale qui a conduit avec succès le développement et l'approbation de nombreux produits pharmaceutiques à travers le monde.

Effik France, filiale d'Italfarmaco depuis 2015, assure le rôle d'exploitant en France pour la commercialisation des médicaments du groupe dans les domaines de la gynécologie, la neurologie et les maladies rares.

Contact Presse :

Damien Maillard – Agence PRPA | +33 6 80 28 47 70 | damien.maillard@prpa.fr

¹ Pane M, Capasso A, Arpaia C, et al. Safety and Tolerability of Givinostat: Evidence From Real-World and Clinical Practice. *Ann Clin Transl Neurol.* 2026;0:1–6. <https://doi.org/10.1002/acn3.70397>

² Sandonà M, Cavioli G, Renzini A, et al. Histone Deacetylases: Molecular Mechanisms and Therapeutic Implications for Muscular Dystrophies. *Int J Mol Sci.* 2023;24(5):4306. <https://doi.org/10.3390/ijms24054306>.

³ Giuliani G, Rosina M, Reggio A. Signaling pathways regulating the fate of fibro/adipogenic progenitors (FAPs) in skeletal muscle regeneration and disease. *FEBS J.* 2022;289(21):6484–6517. <https://doi.org/10.1111/febs.16080>.

⁴ Walter MC, Reilich P. Recent developments in Duchenne muscular dystrophy: facts and numbers. *J Cachexia Sarcopenia Muscle.* 2017;8(5):681–685. <https://doi.org/10.1002/jcsm.12245>.

⁵ Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS), Myopathie de Duchenne, Haute Autorité de Santé.

⁶ Comi G, Bertini E, Vita G, et al. S22.008: Development of the histone deacetylases inhibitor Givinostat in Duchenne Muscular Dystrophy. *Poster. Neurology.* 2018;90(15 (Supplement)).

⁷ Licandro SA, Crippa L, Pomarico R, et al. The pan HDAC inhibitor Givinostat improves muscle function and histological parameters in two Duchenne muscular dystrophy murine models expressing different haplotypes of the *LTBP4* gene. *Skeletal Muscle.* 2021;11(1):19. <https://doi.org/10.1186/s13395-021-00273-6>

FR-DVZ-26-00004

Date de création : Mai 2026