



1 aprile 2025

Cari membri della Comunità Duchenne,

Condividiamo le seguenti informazioni a fronte della vostra richiesta di costanti aggiornamenti sul nostro programma di sviluppo clinico di Duchenne.

Il 18 marzo Sarepta ha annunciato la triste notizia di un giovane con distrofia muscolare di Duchenne, deceduto in seguito a trattamento con delandistrogene moxeparvovec, avendo sofferto di insufficienza epatica acuta. A seguito di questo triste evento sono ancora in corso attente valutazioni e analisi delle informazioni.

Quale parte del nostro impegno nel mantenere informata la comunità, vogliamo condividere che l'Agenzia europea per i medicinali (EMA) ha richiesto uno stop clinico temporaneo per lo Studio 104 ([NCT06241950](#)), lo Studio 302 (ENVOL, [NCT06128564](#)) e lo Studio 303 (ENVISION, [NCT05881408](#)) fino al completamento dell'analisi della causa del decesso.

Stiamo sospendendo l'arruolamento e il dosaggio dei partecipanti dello studio ENVOL sponsorizzato da Roche presso i centri attivi in UE e nel Regno Unito. Il monitoraggio della sicurezza dei pazienti già arruolati e la raccolta continua di dati proseguiranno.

La sicurezza e il benessere dei pazienti sono la priorità assoluta di Roche. Collaboreremo a stretto contatto con EMA e condivideremo ulteriori aggiornamenti non appena li avremo.

Restiamo a disposizione per qualunque necessità,

Team DMD Roche Italia

---

Studio 104 ([NCT06241950](#)), uno studio di fase I, in aperto, sul rilascio di geni sistemici, sponsorizzato da Sarepta, per valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'espressione di Elevidys in associazione a imlifidase in soggetti di età compresa tra 4 e 9 anni con anticorpi preesistenti contro il sierotipo virale adeno-associato ricombinante, rAAVrh74.

ENVOL (Studio 302, [NCT06128564](#)), uno studio di fase II sponsorizzato da Roche per valutare la sicurezza di Elevidys e l'espressione della proteina della micro-distrofina di Elevidys nei bambini piccoli, compresi neonati e neonati.

ENVISION (Studio 303, [NCT05881408](#)), uno studio globale di fase III sponsorizzato da Sarepta che ha analizzato la sicurezza e l'efficacia di Elevidys in partecipanti deambulanti (di età compresa tra 8 e <18 anni) e non deambulanti (senza limiti di età).