



16 aprile 2026

Aggiornamento sulla ricerca nella terapia genica: nuovo studio di Fase III per ampliare l'accesso al trattamento

Cari Membri della Comunità Duchenne,

Facendo seguito alla vostra richiesta di aggiornamenti sulle attività di ricerca, siamo lieti di annunciare che Roche darà il via a un nuovo studio globale di Fase III per il farmaco delandistrogene moxeparvovec (Elevidys™). L'obiettivo è ampliare l'accesso al trattamento per i pazienti deambulanti che vivono con la Distrofia Muscolare di Duchenne (DMD).

Delandistrogene moxeparvovec è attualmente approvato in 9 paesi in pazienti maschi deambulanti di età pediatrica con una mutazione DMD confermata, sulla base dello studio di Fase III EMBARK. Comprendiamo l'urgenza delle famiglie di tutto il mondo di accedere ad una terapia che tratti le cause sottostanti la Distrofia Muscolare di Duchenne. Il nuovo studio, di confronto rispetto ad un gruppo placebo, fornirà ulteriori dati utili al processo di sottomissione regolatoria all'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) e alla richiesta di autorizzazione e rimborso in altri paesi. Il nostro obiettivo è quello di rendere questa terapia accessibile ai pazienti pediatrici deambulanti con DMD in Europa e in tutto il mondo.

Nuovo studio registrativo

Lo studio si basa su 6 anni di evidenze cliniche, inclusi i recenti dati a 3 anni dello studio di Fase III EMBARK, e sui feedback ricevuti da EMA e dalla comunità Duchenne. Stiamo lavorando con il massimo impegno per l'attivazione e l'avvio dello studio.

- **Sintesi dello studio:** studio in doppio cieco sull'efficacia e la sicurezza di delandistrogene moxeparvovec verso placebo della durata di 72 settimane (1,5 anni) su circa 100 pazienti maschi in età pediatrica affetti da Distrofia Muscolare di Duchenne in fase iniziale di deambulazione. I partecipanti inizialmente inseriti nel gruppo placebo potranno ricevere la terapia genica una volta terminata la fase iniziale di 72 settimane.
- **Dettagli e centri dello studio:** con l'avanzare della pianificazione dello studio, ulteriori informazioni verranno condivise con voi e sui registri delle sperimentazioni cliniche, inclusi i centri partecipanti, criteri di inclusione e le relative tempistiche per l'arruolamento.

Partnership con la comunità

L'obiettivo e il disegno di questo studio sono stati definiti grazie al confronto con la comunità scientifica e le famiglie Duchenne. Lo studio riflette le conoscenze e l'esperienza acquisite con

delandistrogene moxeparvovec attraverso 7 studi clinici e l'utilizzo nella pratica clinica, che hanno coinvolto oltre 1.050 pazienti maschi deambulanti in età pediatrica. Siamo profondamente grati per la partnership con la comunità e con tutte le organizzazioni e le famiglie impegnate nello sviluppo clinico e nella ricerca sulla Duchenne.

Cordialmente.

A nome del team Roche Duchenne,



Mai-Lise Nguyen Global Patient Partnership Leader

Informazioni su delandistrogene moxeparvovec

Delandistrogene moxeparvovec è una terapia genica a singola somministrazione per via endovenosa. È stata sviluppata per contrastare la causa alla base della malattia mediante il rilascio della proteina micro-distrofina a livello dei muscoli scheletrici, respiratori e cardiaci. Delandistrogene moxeparvovec è controindicato nei pazienti con qualsiasi delezione negli esoni 8 e/o 9 nel gene DMD.

Ad oggi, oltre 1.200 pazienti con DMD (di cui più di 1.050 deambulanti) sono stati trattati in contesti di studio clinico e di real-world. Il farmaco è approvato in nove paesi: USA, Giappone, Brasile, Israele, Emirati Arabi Uniti, Oman, Bahrein, Qatar e Kuwait (con criteri specifici per ogni paese).

Il programma è frutto di una partnership multi-company: Sarepta Therapeutics è responsabile dell'approvazione regolatoria e della commercializzazione negli Stati Uniti, così come della produzione. Roche è responsabile delle approvazioni regolatorie e della commercializzazione nel resto del mondo. In Giappone, la commercializzazione avviene tramite Chugai Pharmaceutical, membro del Gruppo Roche.

Per ulteriori informazioni, è possibile contattare il servizio Roche Medical Information su medinfo.roche.com.