



Associazione Gli Amici di Emanuele - Fondo DMD - ONLUS
C.F. 93550270156

www.fondodmd.it info@fondodmd.it +39 333 6838999
IBAN IT52 Y034 4020 5000 0000 0711 100

Un nuovo traguardo per il trattamento della Distrofia Muscolare di Duchenne

Sarepta Therapeutics ha annunciato che la US Food and Drug Administration ha approvato l'impiego di Exondys 51 (Eteplirsen) per il trattamento della Distrofia Muscolare di Duchenne. Questa molecola appartiene alla classe degli oligonucleotidi antisenso (phosphorodiamidate morpholino) che agiscono a livello del DNA promuovendo il fenomeno dell' "exon skipping". Exondys 51 è adesso disponibile per pazienti portatori di delezioni trattabili tramite il "salto" dell'esone 51. Il trattamento prevede la somministrazione del farmaco per via endovenosa, una volta alla settimana, al dosaggio di 30 mg/kg.

La decisione dell'FDA rappresenta un traguardo importante nel trattamento della DMD, Exondys 51 è infatti il primo farmaco che viene commercializzato con un'azione a livello genetico per il trattamento di questa patologia.

L'approvazione dell'FDA è stata giustificata dai risultati positivi ottenuti con le sperimentazioni cliniche condotte presso l'Ospedale pediatrico (Nationwide Children's Hospital) di Columbus in Ohio. Le analisi dei dati hanno evidenziato l'espressione della distrofina a livello delle biopsie muscolari di alcuni pazienti trattati con il farmaco.

Questo risultato rappresenta un importante passo avanti e un forte incoraggiamento per la prosecuzione della ricerca e delle sperimentazioni cliniche impegnate nel trovare una cura per le patologie neuromuscolari.

Milano, settembre 2015.

Dottoressa Alessandra Govoni

