

Italfarmaco Announces Health Canada Acceptance and Priority Review of New Drug Submission for Givinostat as a Duchenne Muscular Dystrophy Treatment

- Health Canada Priority Review targets an expedited 180-day review period for givinostat, reflecting Italfarmaco's commitment to Canadian DMD community
- NDS is based on Italfarmaco's Phase 3 EPIDYS trial data demonstrating meaningful treatment benefits in DMD patients

MILAN, Italy, June 10, 2026 – [Italfarmaco S.p.A.](#) today announced that Health Canada has accepted for review the New Drug Submission (NDS) for givinostat (Duvyzat®) for the treatment of Duchenne muscular dystrophy (DMD). Health Canada has granted givinostat Priority Review status, a designation reserved for drugs that may provide a significant improvement in the benefit-risk profile over existing therapies.

*"Families affected by Duchenne muscular dystrophy in Canada currently have limited access to treatment options that can slow functional decline," said **Dr. Jean K. Mah, a Canadian investigator for the EPIDYS and OLE studies and Director of the Pediatric Neuromuscular Program at the Alberta Children's Hospital in Calgary, Alberta.** "As a clinician treating DMD patients, I am encouraged by this positive step in the Canadian regulatory progress and givinostat's therapeutic potential demonstrated in the EPIDYS Phase 3 study."*

An estimated 1000 boys in Canada are living with DMD, one of the most severe and common forms of childhood muscular dystrophy.¹ As part of its commitment to the Canadian DMD community, Italfarmaco will establish a local Canadian affiliate to lead ongoing discussions with health authorities throughout the regulatory review process and to support patients and their families as well as healthcare providers. Subject to Health Canada's review, marketing authorisation could be granted before the end of 2026.

*"Duchenne muscular dystrophy places an enormous burden on boys and their families, and we understand the urgency of bringing new treatment options to communities where significant unmet need remains," said **Francesco Di Marco, Chief Executive Officer of Italfarmaco Group.** "Health Canada's acceptance of the New Drug Submission for givinostat with Priority Review is an encouraging step forward. As we expand our presence in Canada, we are committed to working with clinicians, patient organisations, and other stakeholders to support the Duchenne community and help advance access for appropriate patients, if approved."*

The submission builds on many years of clinical research, including contributions from Canadian patients, families, investigators, and three clinical trial sites in Canada. It is supported by data from the EPIDYS Phase 3 multicentre, randomized, double-blind, placebo-controlled trial ([NCT02851797](#)) evaluating givinostat in ambulant boys with DMD aged six and older. The study met its primary endpoint, demonstrating a statistically significant and clinically meaningful difference in time to complete the four-stair climb assessment in patients treated with givinostat twice daily, in addition to corticosteroids, compared to placebo and corticosteroids. During the study, the most common treatment-related adverse events (frequency $\geq 1/10$ boys) associated with givinostat were decreased platelet count/thrombocytopenia, increased blood triglyceride/hypertriglyceridemia, diarrhoea and abdominal pain; none of the severe or serious adverse events were treatment-related or resulted in study withdrawal. givinostat tolerability was managed with appropriate monitoring and dose adjustments. No other safety concerns were observed.² Patients from the EPIDYS



Company Announcement



study remain under observation in a long-term study assessing tolerability and efficacy, with follow-up extending up to eleven years ([NCT03373968](#)).

Givinostat has received regulatory approvals in multiple regions, including the US, the UK, the EU, and the UAE for the treatment of DMD. Additional regulatory submissions are ongoing in other geographies, reflecting Italfarmaco's commitment to enabling access for as many individuals living with DMD as possible.

About Duchenne Muscular Dystrophy

Duchenne muscular dystrophy (DMD) is a rare, progressive neuromuscular disorder caused by mutations in the *DMD* gene. Mutations in the *DMD* gene prevent the production of functional dystrophin, causing the dystrophin-associated protein complex (DAPC) to break down. This makes muscle fibres more vulnerable to damage and increases histone deacetylase (HDAC) levels in the muscle cells, blocking the activation of important genes needed for muscle maintenance and repair. As a result, muscle fibres experience ongoing damage, leading to chronic inflammation and poor regeneration. Over time, muscle cells die and are replaced by scar tissue and fat.³⁻⁶ DMD primarily affects males, with symptoms typically appearing between the ages of two and five. As the condition progresses, muscle weakness worsens, leading to loss of ambulation; eventually, the heart and respiratory muscles are also affected, which are the leading causes of premature death.⁷ DMD is one of the most severe and common forms of childhood muscular dystrophy, with a global birth incidence of approximately 1 in 5,050 boys.⁸

About Givinostat

Givinostat was discovered through Italfarmaco's research and development efforts in collaboration with Telethon and Duchenne Parent Project (Italy). Givinostat is an orally administered histone deacetylase (HDAC) inhibitor that regulates the excessive HDAC activity characteristic of DMD muscles. By doing so, it helps restore the expression of key genes and biological processes essential for muscle maintenance and repair. Its mechanism of action is independent of the specific dystrophin gene mutation causing the disease.^{9,10} Givinostat is an investigational medicine in Canada. Its safety and efficacy are currently under investigation, and Health Canada has not yet granted market authorization for this product.

About ITALFARMACO

Founded in 1938 in Milan, Italy, Italfarmaco is a private global pharmaceutical company that has led the successful development and approval of many pharmaceutical products around the world. The Italfarmaco group has operations in more than 90 countries through directly controlled or affiliated companies. The company is a leader in pharmaceutical research, product development, production and commercialisation with proven success in many therapeutic areas including immuno-oncology, gynaecology, neurology, cardiovascular disease and rare diseases. Italfarmaco's rare disease unit includes programmes in Duchenne muscular dystrophy, Becker muscular dystrophy, amyotrophic lateral sclerosis and polycythaemia vera.



Company Announcement



Contacts

Media enquiries:

Anja Heuer / Adolfo Luna | +49 (0) 151 106 199 05 | italfarmaco@trophic.eu

Other enquiries:

Samantha Parker | Patient Advocacy and Communications Lead |
RDEnquiries@italfarmacogroup.com

References

1. Lorenz, C., Kapoor, A., Tomar, A. *et al.* Modelling the epidemiology of Duchenne muscular dystrophy provides insights into the overall population and selected subpopulations in nine countries. *J Rare Dis* 4, 73 (2025). doi.org/10.1007/s44162-025-00132-8
2. Mercuri E, Vilchez J, Boespflug-Tanguy O *et al.* Safety and efficacy of givinostat in boys with Duchenne muscular dystrophy (EPIDYS): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. *The Lancet Neurology*, 23, 393-403. [doi.org/10.1016/s1474-4422\(24\)00036-x](https://doi.org/10.1016/s1474-4422(24)00036-x).
3. 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. doi.org/10.3390/ijms24054306.
4. Consalvi S, Saccone V, Giordani L, Minetti G, Mozzetta C, Puri PL. Histone Deacetylase Inhibitors in the Treatment of Muscular Dystrophies: Epigenetic Drugs for Genetic Diseases. *Mol Med.* 2011;17(5):457–465. doi.org/10.2119/molmed.2011.00049.
5. Bez Batti Angulski A, Hosny N, Cohen H, *et al.* Duchenne muscular dystrophy: disease mechanism and therapeutic strategies. *Front Physiol.* 2023;14:1183101. doi.org/10.3389/fphys.2023.1183101.
6. 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):64846517. doi.org/10.1111/febs.16080.
7. Crisafulli S, Sultana J, Fontana A, Salvo F, Messina S, Trifirò G. Global epidemiology of Duchenne muscular dystrophy: an updated systematic review and meta-analysis. *Orphanet J Rare Dis.* 2020;15(1):141. doi.org/10.1186/s13023-020-01430-8.
8. Walter MC, Reilich P. Recent developments in Duchenne muscular dystrophy: facts and numbers. *J Cachexia Sarcopenia Muscle.* 2017;8(5):681–685. doi.org/10.1002/jcsm.12245.
9. 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)).
10. 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. *Skelet Muscle.* 2021;11(1):19. doi.org/10.1186/s13395-021-00273-6.



Italfarmaco annonce l'acceptation du dépôt et l'examen prioritaire par Santé Canada pour la présentation de drogue nouvelle du givinostat dans le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne

- L'examen prioritaire de Santé Canada vise un délai accéléré de 180 jours pour l'examen du givinostat, reflétant l'engagement d'Italfarmaco envers la communauté canadienne touchée par la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD).
- La présentation de drogue nouvelle (PDN) s'appuie sur les données de l'étude EPIDYS de phase 3 d'Italfarmaco, qui démontrent des bénéfices thérapeutiques significatifs chez les patients atteints de DMD.

MILAN, Italie, 10 juin 2026 – [Italfarmaco S.p.A.](#) a annoncé aujourd'hui que Santé Canada a accepté pour examen la présentation de drogue nouvelle (PDN) du givinostat (Duvyzat®) dans le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD). Santé Canada a accordé au givinostat la désignation d'examen prioritaire, réservée aux médicaments susceptibles d'offrir une amélioration importante du profil bénéfice-risque par rapport aux thérapies existantes.

« Les familles touchées par la dystrophie musculaire de Duchenne au Canada ont actuellement un accès limité aux options thérapeutiques qui peuvent ralentir le déclin fonctionnel », **a déclaré la Dre [Jean K. Mah], investigatrice canadienne pour les études EPIDYS et OLE et directrice du programme neuromusculaire pédiatrique à l'Alberta Children's Hospital, à Calgary (Alberta).** « En tant que clinicienne traitant des patients atteints de DMD, je suis encouragée par cette étape positive dans le parcours réglementaire canadien et par le potentiel thérapeutique du givinostat démontré dans l'étude EPIDYS de phase 3. »

On estime qu'environ 1 000 garçons au Canada vivent avec la DMD, l'une des formes les plus graves et les plus courantes de dystrophie musculaire de l'enfance. ¹ Dans le cadre de son engagement envers la communauté canadienne touchée par la DMD, Italfarmaco mettra sur pied une filiale canadienne qui sera chargée de mener les discussions avec les autorités de santé tout au long du processus d'examen réglementaire et de soutenir les patients, leurs familles ainsi que les professionnels de la santé. Sous réserve de l'examen de Santé Canada, une autorisation de mise en marché pourrait être accordée d'ici la fin de 2026.

« La dystrophie musculaire de Duchenne impose un fardeau énorme aux garçons et à leurs familles, et nous comprenons l'urgence de rendre de nouvelles options de traitement disponibles dans les communautés où les besoins non comblés restent importants », **a indiqué Francesco Di Marco, chef de la direction du groupe Italfarmaco.** « L'acceptation par Santé Canada de la présentation de drogue nouvelle pour le givinostat avec examen prioritaire représente un pas en avant encourageant. À mesure que nous renforçons notre présence au Canada, nous sommes déterminés à travailler avec les cliniciens, les organisations de patients et les autres parties prenantes afin de soutenir la communauté Duchenne et de favoriser l'accès des patients admissibles à ce traitement, s'il est approuvé. »

La présentation s'appuie sur de nombreuses années de recherche clinique, auxquelles ont contribué des patients, des familles et des investigateurs canadiens, ainsi que trois centres d'essais cliniques au Canada. Elle est étayée par les données de l'essai EPIDYS de phase 3, multicentrique, randomisé, à double insu et contrôlé par placebo ([NCT02851797](#)), qui évalue le givinostat chez des garçons ambulatoires atteints de DMD âgés de six ans et plus. L'étude a atteint son critère d'évaluation principal, démontrant une différence statistiquement



significative et cliniquement pertinente du temps nécessaire pour monter quatre marches d'escalier chez les patients traités par givinostat deux fois par jour, en plus des corticostéroïdes, comparativement au placebo associé aux corticostéroïdes.

Au cours de l'étude, les effets indésirables liés au traitement les plus fréquents (incidence \geq 1/10 des garçons) associés au givinostat étaient une diminution du nombre de plaquettes/thrombocytopenie, une augmentation des triglycérides sanguins/hypertriglycéridémie, la diarrhée et les douleurs abdominales; aucun des événements indésirables graves ou sévères n'était lié au traitement ou n'a entraîné le retrait de l'étude. La tolérance au givinostat a été gérée par une surveillance appropriée et des ajustements de dose. Aucun autre problème d'innocuité n'a été observé.² Les patients ayant participé à l'étude EPIDYS demeurent sous observation dans le cadre d'une étude à long terme évaluant la tolérabilité et l'efficacité, avec un suivi pouvant aller jusqu'à onze ans ([NCT03373968](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03373968)).

Le givinostat a reçu des approbations réglementaires dans plusieurs régions, y compris aux États-Unis, au Royaume-Uni, dans l'Union européenne et aux Émirats arabes unis pour le traitement de la DMD. D'autres présentations réglementaires sont en cours dans d'autres territoires, reflétant l'engagement d'Italfarmaco à faciliter l'accès au traitement pour le plus grand nombre possible de personnes vivant avec la DMD.

À propos de la dystrophie musculaire de Duchenne

La dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) est une maladie neuromusculaire rare et progressive causée par des mutations du gène DMD. Ces mutations empêchent la production de dystrophine fonctionnelle, ce qui entraîne la rupture du complexe de protéines associé à la dystrophine (DAPC). Les fibres musculaires deviennent alors plus vulnérables aux dommages, et le niveau d'histones désacétylases (HDAC) augmente dans les cellules musculaires, ce qui bloque l'activation de gènes importants pour l'entretien et la réparation du muscle. Par conséquent, les fibres musculaires subissent des dommages continus, menant à une inflammation chronique et à une régénération déficiente. Avec le temps, les cellules musculaires meurent et sont remplacées par du tissu cicatriciel et de la graisse.³⁻⁶ La DMD touche principalement les garçons, les symptômes apparaissant généralement entre l'âge de deux et cinq ans. À mesure que la maladie progresse, la faiblesse musculaire s'aggrave, menant à la perte de la marche; à un stade ultérieur, les muscles cardiaques et respiratoires sont également atteints, ce qui constitue l'une des principales causes de décès prématuré.⁷ La DMD est l'une des formes les plus graves et les plus courantes de dystrophie musculaire de l'enfance, avec une incidence mondiale à la naissance d'environ 1 garçon sur 5 050.⁸

À propos du givinostat

Le givinostat a été découvert à la suite des travaux de recherche et développement d'Italfarmaco, en collaboration avec Telethon et Duchenne Parent Project (Italie). Le givinostat est un inhibiteur des histones désacétylases (HDAC) administré par voie orale qui régule l'activité excessive des HDAC caractéristique des muscles atteints de DMD. Ce faisant, il contribue à rétablir l'expression de gènes clés et de processus biologiques essentiels à l'entretien et à la réparation du muscle. Son mécanisme d'action est indépendant de la mutation précise du gène de la dystrophine à l'origine de la maladie.⁹⁻¹⁰ Le givinostat est un médicament en investigation au Canada. Son innocuité et son efficacité font actuellement l'objet d'évaluations, et Santé Canada n'a pas encore accordé d'autorisation de mise en marché pour ce produit.



Communiqué de presse



À propos d'ITALFARMACO

Fondée en 1938 à Milan, en Italie, Italfarmaco est une entreprise pharmaceutique mondiale privée qui a mené à bien le développement et l'approbation de nombreux produits pharmaceutiques partout dans le monde. Le groupe Italfarmaco est présent dans plus de 90 pays par l'intermédiaire de sociétés directement contrôlées ou affiliées. L'entreprise est un chef de file en recherche pharmaceutique, en développement de produits, en production et en commercialisation, et a démontré son succès dans de nombreux domaines thérapeutiques, notamment l'immuno-oncologie, la gynécologie, la neurologie, les maladies cardiovasculaires et les maladies rares. L'unité consacrée aux maladies rares d'Italfarmaco comprend des programmes en dystrophie musculaire de Duchenne, dystrophie musculaire de Becker, sclérose latérale amyotrophique et polycythémie vraie.

Contacts

Demandes des médias :

Anja Heuer / Adolfo Luna | +49 (0) 151 106 199 05 | italfarmaco@trophic.eu

Autres demandes :

Samantha Parker | Engagement des patients et communications | RDEnquiries@italfarmacogroup.com

Références

1. Lorenz, C., Kapoor, A., Tomar, A. *et al.* Modelling the epidemiology of Duchenne muscular dystrophy provides insights into the overall population and selected subpopulations in nine countries. *J Rare Dis* 4, 73 (2025). <https://doi.org/10.1007/s44162-025-00132-8>
2. Mercuri E, Vilchez J, Boespflug-Tanguy O *et al.* Safety and efficacy of givinostat in boys with Duchenne muscular dystrophy (EPIDYS): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. *The Lancet Neurology*, 23, 393-403
3. 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>.
4. Consalvi S, Saccone V, Giordani L, Minetti G, Mozzetta C, Puri PL. Histone Deacetylase Inhibitors in the Treatment of Muscular Dystrophies: Epigenetic Drugs for Genetic Diseases. *Mol Med.* 2011;17(5):457–465. <https://doi.org/10.2119/molmed.2011.00049>.
5. Bez Batti Angulski A, Hosny N, Cohen H, *et al.* Duchenne muscular dystrophy: disease mechanism and therapeutic strategies. *Front Physiol.* 2023;14:1183101. <https://doi.org/10.3389/fphys.2023.1183101>.
6. 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):64846517. <https://doi.org/10.1111/febs.16080>.
7. Crisafulli S, Sultana J, Fontana A, Salvo F, Messina S, Trifirò G. Global epidemiology of Duchenne muscular dystrophy: an updated systematic review and meta-analysis. *Orphanet J Rare Dis.* 2020;15(1):141. <https://doi.org/10.1186/s13023-020-01430-8>.
8. 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>.
9. 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)).
10. 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. *Skelet Muscle.* 2021;11(1):19. <https://doi.org/10.1186/s13395-021-00273-6>.

