



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/173265/2026
EMA/H/C/006482

Daybu (*trofinetid*)

Přehled pro přípravek Daybu ve srozumitelném jazyce a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Daybu a k čemu se používá?

Daybu je léčivý přípravek, který se používá k léčbě neurobehaviorálních příznaků Rettova syndromu u dospělých a dětí ve věku od 5 let. Rettův syndrom je onemocnění, které ovlivňuje způsob, jakým se vyvíjí mozek. Postihuje především dívky a ženy a vede k mentální retardaci a ztrátě řeči a dovedností naučených dříve ve věku od 6 do 18 měsíců.

Neurobehaviorální příznaky Rettova syndromu zahrnují opakované pohyby rukou, neklid, problémy s celkovou náladou, úzkost, potíže se spánkem a s komunikací.

Rettův syndrom je vzácné onemocnění a přípravek Daybu byl označen dne 10. srpna 2015 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ k léčbě Rettova syndromu. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534.

Přípravek Daybu obsahuje léčivou látku trofinetid.

Jak se přípravek Daybu používá?

Výdej přípravku Daybu je vázán na lékařský předpis.

Je k dispozici ve formě roztoku, který se pije nebo podává prostřednictvím gastrostomické (žaludeční) výživové sondy, a to dvakrát denně.

Více informací o používání přípravku Daybu naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



© European Medicines Agency, 2026. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Jak přípravek Daybu působí?

Inzulinu podobný růstový faktor 1 (IGF-1) je hormon, který je důležitý pro normální vývoj a fungování nervového systému. U Rettova syndromu jsou hladiny hormonu IGF-1 v mozku nižší než obvykle, a předpokládá se, že to ovlivňuje funkci nervů.

Léčivá látka v přípravku Daybu, trofinetid, se skládá z molekuly odvozené z hormonu IGF-1. Způsob, jakým trofinetid působí u Rettova syndromu, není jasný.

Jaké přínosy přípravku Daybu byly prokázány v průběhu studií?

Hlavní studie prokázala, že léčba přípravkem Daybu může zlepšit neurobehaviorální příznaky u osob s Rettovým syndromem.

Do této studie bylo zařazeno 187 dívek ve věku od 5 let a žen s Rettovým syndromem, kterým byl každý den po dobu 12 týdnů podáván buď přípravek Daybu, nebo placebo (neúčinný přípravek). Hlavními měřítky účinnosti byly změny skóre pacientů podle dvou standardních měřítek: dotazníku o chování při Rettově syndromu (RSBQ), který na základě odpovědí pečovatele hodnotí behaviorální, emoční a fyzické příznaky pacienta, a dále skóre představy celkového klinického zlepšení (CGI-I), které měří celkové zlepšení zdraví pacienta pozorované klinickým lékařem.

Celkové možné skóre RSBQ je 90, přičemž vyšší skóre naznačuje více problémů s chováním a emocemi. U přípravku Daybu skóre na stupnici RSBQ v průměru kleslo o 4,9 bodu, zatímco u placeba se snížilo v průměru o 1,7 bodu.

Stupnice CGI-I měří celkové zlepšení zdravotního stavu, včetně neurobehaviorálních příznaků, a to na sedmibodové stupnici, kde skóre 1 ukazuje, že stav pacienta se od zahájení léčby výrazně zlepšil, a skóre 7 ukazuje, že stav pacienta je mnohem horší. U přípravku Daybu bylo po 12 týdnech průměrné skóre na stupnici CGI-I 3,5, zatímco u placeba to bylo 3,8.

Studie provedené s přípravkem Daybu jsou podrobněji popsány v hodnotící zprávě přípravku.

Jaké jsou nežádoucí účinky a omezení přípravku Daybu?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Daybu je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Daybu jsou průjem, který může postihnout 4 z 5 osob, a zvracení, které může postihnout 1 osobu ze 4. Velmi častý je také úbytek hmotnosti, který může postihnout více než 1 osobu z 10.

Na základě čeho byl přípravek Daybu registrován v EU?

Ačkoli hlavní studie přípravku Daybu neposkytuje důkazy o některých klíčových příznacích Rettova syndromu, například záchvatech, údaje ze stupnic RSBQ a CGI-I ukázaly určité zlepšení neurobehaviorálních příznaků. Agentura měla za to, že ačkoli byla tato zlepšení malá, v souvislosti se vzácnou a závažnou poruchou, jako je Rettův syndrom, byla významná.

Pokud jde o bezpečnost, přípravek Daybu způsobuje průjem a zvracení. Ačkoli tyto nežádoucí účinky obecně nejsou závažné, vyskytují se často, což může vést k tomu, že pacienti léčbu ukončí. Přípravek Daybu rovněž způsobuje úbytek tělesné hmotnosti, což by mohlo ovlivnit růst mladých pacientů s Rettovým syndromem. Informace o přípravku Daybu obsahují informace o těchto nežádoucích účincích na podporu jejich léčby.

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Daybu převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Daybu?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Daybu, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Daybu průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Daybu jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Daybu

Další informace o přípravku Daybu, včetně příbalové informace a hodnotící zprávy, jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu.

Informace o dostupnosti tohoto léčivého přípravku ve vaší zemi vám poskytne [příslušný vnitrostátní orgán](#).