



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/155565/2025  
EMA/H/C/006079

## Duvyzat (*givinostat*)

Přehled pro přípravek Duvyzat a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Duvyzat a k čemu se používá?

Duvyzat je léčivý přípravek, který se používá k léčbě pacientů ve věku 6 let a starších s Duchennovou svalovou dystrofií, kteří jsou schopni chůze a jsou již léčeni kortikosteroidy. Duchennova svalová dystrofie je genetické onemocnění, které postupně způsobuje oslabení svalové funkce a její ztrátu.

Duchennova svalová dystrofie je vzácné onemocnění a přípravek Duvyzat byl označen dne 4. července 2012 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Duvyzat obsahuje léčivou látku givinostat.

### Jak se přípravek Duvyzat používá?

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Měl by jej předepisovat lékař, který má zkušenosti s léčbou pacientů s Duchennovou svalovou dystrofií.

Přípravek Duvyzat je k dispozici ve formě tekutiny a má se užívat ústy dvakrát denně. Před zahájením léčby přípravkem Duvyzat se lékaři ujistí, že pacienti mají normální hladinu krevních destiček (krevní destičky jsou složky, které pomáhají srážení krve). Během léčby je třeba pravidelně sledovat hladiny krevních destiček a triglyceridů a podle výsledků může být nutné upravit dávku přípravku Duvyzat. Dávku přípravku Duvyzat může být rovněž nutné upravit u pacientů, kteří mají během léčby průjem (více než 4 stolice denně).

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

### Jak přípravek Duvyzat působí?

Účinná látka v přípravku Duvyzat, givinostat, blokuje aktivitu některých enzymů zvaných histonové deacetylázy (HDAC), které řídí čtení genů a jejich využití při tvorbě proteinů, včetně těch, které se podílejí na opravě svalů.

Předpokládá se, že dystrofické svalové buňky mají zvýšenou aktivitu enzymů HDAC, což snižuje produkci proteinů nutných k opravě svalů, a to vede k zánětu, jizvení a ztlušťování a k hromadění tuku ve svaích.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



Blokováním aktivity enzymů HDAC givinostat pomáhá obnovit produkci proteinů, které se podílejí na opravě svalů, snižuje poškození svalstva a pomáhá zpomalit progresi onemocnění.

## **Jaké přínosy přípravku Duvyzat byly prokázány v průběhu studií?**

V hlavní studii týkající se chlapců ve věku 6 let a starších s Duchennovou svalovou dystrofií, kteří byli schopni chůze a byli léčeni kortikosteroidy, bylo prokázáno, že přípravek Duvyzat u pacientů zpomaluje pokles schopnosti chůze.

Ve studii byl 81 chlapcům podáván přípravek Duvyzat a 39 chlapcům placebo (neúčinný přípravek), obojí jako doplněk kortikosteroidů. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna schopnosti chůze pacientů, měřená časem potřebným k výstupu do čtyř schodů.

Po 18 měsících léčby trval pacientům užívajícím Duvyzat výstup do čtyř schodů v průměru o 1,25 sekundy déle. U osob, kterým bylo podáváno placebo, došlo k většímu nárůstu – v průměru o 3,03 sekundy.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Duvyzat?**

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

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Duvyzat (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou průjem, bolest břicha, trombocytopenie (nízká hladina krevních destiček), zvracení a hypertriglyceridemie (vysoká hladina triglyceridů, což je druh tuku, v krvi).

## **Na základě čeho byl přípravek Duvyzat registrován v EU?**

V době registrace byly jedinými léčivými přípravky používanými k léčbě Duchennovy svalové dystrofie kortikosteroidy. Na základě výsledků studie se předpokládá, že přípravek Duvyzat zpomaluje progresi onemocnění, zejména pokud se začne podávat včas. Existovaly však nejasnosti ohledně rozsahu účinku přípravku Duvyzat, a proto Evropská agentura pro léčivé přípravky požádala o provedení dalších studií, které by potvrdily účinnost přípravku. Nežádoucí účinky přípravku Duvyzat byly převážně mírné až středně závažné a byly považovány za zvladatelné. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Duvyzat převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravku Duvyzat byla udělena podmíněná registrace. Znamená to, že byl schválen na základě méně komplexních údajů, než je obvykle požadováno, protože splňuje nenaplněnou léčebnou potřebu. Agentura se domnívá, že přínos toho, že je přípravek k dispozici dříve, převyšuje veškerá rizika spojená s jeho používáním, zatímco se očekávají další poznatky.

Společnost musí poskytnout další údaje o přípravku Duvyzat. Musí předložit výsledky dvou studií, které potvrdí bezpečnost a účinnost léčivého přípravku, a to i z dlouhodobého hlediska. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Duvyzat?**

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

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

### **Další informace o přípravku Duvyzat**

Další informace o přípravku Duvyzat jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat).