



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

En oversigt over Duvyzat, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Duvyzat, og hvad anvendes det til?

Duvyzat er et lægemiddel til behandling af personer i alderen 6 år og derover med Duchennes muskeldystrofi, som er i stand til at gå og allerede er i behandling med kortikosteroider. Duchennes muskeldystrofi er en arvelig sygdom med gradvis svækkelse og tab af muskelfunktionen.

Duchennes muskeldystrofi er en sjælden sygdom, og Duvyzat blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 4. juli 2012. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på EMA's [websted](#).

Duvyzat indeholder det aktive stof givinostat.

Hvordan anvendes Duvyzat?

Duvyzat fås kun på recept og bør ordineres af en læge, der har erfaring med behandling af patienter med Duchennes muskeldystrofi.

Duvyzat fås som en væske, der tages gennem munden sammen med et måltid to gange dagligt. Før påbegyndelse af behandlingen med Duvyzat vil lægerne sikre, at patienterne har et normalt blodpladeniveau (blodplader er komponenter, der hjælper blodet med at størkne). Under behandlingen bør trombocyt- og triglyceridindholdet overvåges regelmæssigt, og det kan være nødvendigt at justere dosen af Duvyzat på grundlag af resultaterne. Hos patienter, der får diarré (mere end 4 afføringer om dagen) under behandlingen, kan det også være nødvendigt at justere dosen af Duvyzat.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Duvyzat, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Duvyzat?

Det aktive stof i Duvyzat, givinostat, blokerer aktiviteten af visse enzymer kaldet histonedeacetylasen (HDAC), som kontrollerer, hvordan gener aflæses og anvendes til at fremstille proteiner, herunder dem, der er involveret i muskelreparation.

Det menes, at dystrofiske muskelceller har øget HDAC-aktivitet, hvilket mindsker produktionen af proteiner, der reparerer musklerne, hvilket fører til betændelse, ardannelse, fortykkelse og fedtophobning i musklerne.

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



Ved at blokere HDAC's aktivitet bidrager givinostat til at genoprette produktionen af proteiner, der er involveret i muskelreparation, reducere muskelskader og bidrage til at bremse sygdommens udvikling.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Duvyzat?

I et hovedstudie hos drenge i alderen 6 år og derover med Duchennes muskeldystrofi, som var i stand til at gå, og som blev behandlet med kortikosteroider, viste Duvyzat sig at bremse forringelsen af patienternes evne til at gå.

I undersøgelsen fik 81 drenge Duvyzat, og 39 fik placebo (en uvirksom behandling), begge som tillæg til kortikosteroider. Virkningen blev hovedsagelig bedømt på ændringen i patienternes evne til at gå, målt som den tid, der var nødvendig for at bestige 4 trin.

Efter 18 måneders behandling tog de patienter, der tog Duvyzat, i gennemsnit 1,25 sekunder længere om at bestige fire trin. De patienter, der fik placebo, oplevede en større stigning, som i gennemsnit tog 3,03 sekunder længere.

Hvilke risici er der forbundet med Duvyzat?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Duvyzat fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Duvyzat (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er diarré, mavesmerter, trombocytopeni (lavt antal blodplader), opkastning og hypertriglyceridæmi (højt indhold af triglycerider (en type fedt) i blodet).

Hvorfor er Duvyzat godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet var kortikosteroider de eneste lægemidler, der blev anvendt til behandling af Duchennes muskeldystrofi. Baseret på studieresultaterne forventes Duvyzat at forsinke sygdommens udvikling, især når behandlingen påbegyndes tidligt. Der var imidlertid usikkerhed med hensyn til omfanget af Duvyzats virkning, og Det Europæiske Lægemiddelagentur anmodede derfor om, at der blev gennemført yderligere undersøgelser for at bekræfte lægemidlets virkning. Bivirkningerne ved Duvyzat var for det meste milde til moderate og blev anset for at være håndterbare. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Duvyzat opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Duvyzat har fået en betinget godkendelse. Det betyder, at det er blevet godkendt på grundlag af mindre omfattende data, end der normalt kræves, fordi det opfylder et udækket medicinsk behov. Agenturet mener, at fordelene ved at gøre lægemidlet tilgængeligt på et tidligere tidspunkt opvejer eventuelle risici forbundet med dets anvendelse, mens der afventes yderligere dokumentation.

Virksomheden skal fremlægge yderligere data om Duvyzat. Den skal fremlægge resultater fra to studier for at bekræfte lægemidlets sikkerhed og virkning, også på lang sigt. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Duvyzat anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Duvyzat anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Duvyzat løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Duvyzat vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Duvyzat

Yderligere information om Duvyzat findes på agenturets websted under:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.