



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*Givinostat*)

Übersicht über Duvyzat und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Duvyzat und wofür wird es angewendet?

Duvyzat ist ein Arzneimittel zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie bei gehfähigen Patienten ab 6 Jahren, die bereits eine Therapie mit Corticosteroiden erhalten. Die Duchenne-Muskeldystrophie ist eine genetische Erkrankung, die schrittweise zu Schwäche und Verlust der Muskelfunktion führt.

Die Duchenne-Muskeldystrophie ist selten, und Duvyzat wurde am 4. Juli 2012 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Duvyzat enthält den Wirkstoff Givinostat.

Wie wird Duvyzat angewendet?

Duvyzat ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und sollte von einem in der Behandlung von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie erfahrenen Arzt verschrieben werden.

Duvyzat ist als Flüssigkeit erhältlich, die zweimal täglich mit dem Essen eingenommen wird. Vor Beginn der Behandlung mit Duvyzat muss der Arzt sicherstellen, dass die Patienten eine normale Thrombozytenzahl aufweisen (Thrombozyten sind Blutbestandteile, die für die Blutgerinnung zuständig sind). Während der Behandlung sollten die Thrombozytenzahlen und Triglyceride regelmäßig überwacht werden, um zu erkennen, ob die Duvyzat-Dosis angepasst werden muss. Bei Patienten, die während der Behandlung an Durchfall leiden (mehr als 4-mal Stuhlgang pro Tag), muss die Dosis unter Umständen ebenfalls angepasst werden.

Weitere Informationen zur Anwendung von Duvyzat entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Duvyzat?

Der Wirkstoff in Duvyzat, Givinostat, blockiert die Aktivität bestimmter Enzyme namens Histon-Deacetylasen (HDAC). HDAC kontrollieren, wie Gene gelesen und zur Bildung von Proteinen verwendet werden, einschließlich derer, die an der Muskelreparatur beteiligt sind.

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



Es wird angenommen, dass dystrophe Muskelzellen eine erhöhte HDAC-Aktivität aufweisen, die die Produktion von für die Muskelreparatur zuständigen Proteinen verringert. Das führt zu Entzündungen, Narbenbildung und Verdickung sowie zu Fetteinlagerungen in den Muskeln.

Durch die Hemmung der HDAC-Aktivität trägt Givinostat dazu bei, die Produktion von Proteinen wiederherzustellen, die an der Muskelreparatur beteiligt sind, wodurch Muskelschäden verringert und das Fortschreiten der Erkrankung verlangsamt werden.

Welchen Nutzen hat Duvyzat in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie, an der gehfähige Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie ab 6 Jahren teilnahmen, die bereits eine Therapie mit Corticosteroiden erhielten, wurde gezeigt, dass Duvyzat den Verlust der Gehfähigkeit der Patienten verlangsamt.

In der Studie erhielten 81 Jungen Duvyzat und 39 Placebo (eine Scheinbehandlung), beides zusätzlich zu den Corticosteroiden. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung der Gehfähigkeit der Patienten, gemessen an der Zeit, die für das Erklimmen von vier Treppenstufen erforderlich ist.

Nach 18 Monaten benötigten mit Duvyzat behandelte Patienten durchschnittlich 1,25 Sekunden länger, um vier Stufen zu erklimmen. Bei den Patienten, die Placebo erhielten, wurde ein größerer Unterschied festgestellt: Sie brauchten im Durchschnitt 3,03 Sekunden länger.

Welche Risiken sind mit Duvyzat verbunden?

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Duvyzat berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Duvyzat (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Durchfall, Bauchschmerzen, Thrombozytopenie (verminderte Anzahl von Blutplättchen im Blut), Erbrechen und Hypertriglyceridämie (erhöhte Blutfettspiegel).

Warum wurde Duvyzat in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung waren Corticosteroide die einzigen Arzneimittel, die zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie angewendet wurden. Basierend auf den Studienergebnissen wird davon ausgegangen, dass Duvyzat das Fortschreiten der Erkrankung verlangsamt, insbesondere wenn früh mit der Behandlung begonnen wird. Es bestanden jedoch Unsicherheiten hinsichtlich des Ausmaßes der Wirkung von Duvyzat, und die Europäische Arzneimittel-Agentur forderte daher, dass weitere Studien durchgeführt werden, um die Wirksamkeit zu bestätigen. Die Nebenwirkungen von Duvyzat waren meist leicht bis mittelschwer und wurden als beherrschbar erachtet. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Duvyzat gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Duvyzat wurde unter „besonderen Bedingungen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass die Zulassung auf der Grundlage weniger umfassender Daten erteilt wurde, als normalerweise erforderlich sind, weil es eine Behandlungslücke schließt. Die Agentur ist der Auffassung, dass der Nutzen einer früheren Verfügbarkeit des Arzneimittels gegenüber den Risiken seiner Anwendung überwiegt, während auf weitere Nachweise gewartet wird.

Das Unternehmen muss weitere Daten zu Duvyzat vorlegen. Es muss Ergebnisse aus zwei Studien vorlegen, um die Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels, auch langfristig, zu belegen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Duvyzat ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Duvyzat, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Duvyzat kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Duvyzat werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Duvyzat

Weitere Informationen zu Duvyzat finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.