



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dunvyzat (γκιβινοστάτη)

Ανασκόπηση του Dunvyzat και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Dunvyzat και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Dunvyzat είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της μυϊκής δυστροφίας Duchenne σε περιπατητικούς ασθενείς ηλικίας 6 ετών και άνω, και με ταυτόχρονη θεραπεία κορτικοστεροειδών. Η μυϊκή δυστροφία Duchenne είναι μια γενετική νόσος η οποία σταδιακά προκαλεί αδυναμία και απώλεια της μυϊκής λειτουργίας.

Η μυϊκή δυστροφία Duchenne είναι «σπάνια» και το Dunvyzat χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 4 Ιουλίου 2012. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Dunvyzat περιέχει τη δραστική ουσία γκιβινοστάτη.

Πώς χρησιμοποιείται το Dunvyzat;

Το Dunvyzat χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και πρέπει να συνταγογραφείται από γιατρό με πείρα στη θεραπεία ασθενών με μυϊκή δυστροφία Duchenne.

Το Dunvyzat διατίθεται υπό μορφή υγρού για χορήγηση από το στόμα μαζί με τροφή δύο φορές την ημέρα. Πριν από την έναρξη της θεραπείας με Dunvyzat, οι γιατροί θα διασφαλίσουν ότι οι ασθενείς έχουν φυσιολογικά επίπεδα αιμοπεταλίων (τα αιμοπετάλια είναι συστατικά του αίματος που συμβάλλουν στην πήξη του αίματος). Κατά τη διάρκεια της θεραπείας, τα επίπεδα των αιμοπεταλίων και των τριγλυκεριδίων πρέπει να παρακολουθούνται τακτικά και η δόση του Dunvyzat μπορεί να χρειαστεί προσαρμογή ανάλογα με τα αποτελέσματα. Σε ασθενείς που εμφανίζουν διάρροια (πάνω από 4 κενώσεις την ημέρα) κατά τη διάρκεια της θεραπείας, μπορεί επίσης να χρειαστεί προσαρμογή της δόσης του Dunvyzat.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Dunvyzat, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Dunvyzat;

Η δραστική ουσία του Dunvyzat, η γκιβινοστάτη, αναστέλλει τη δράση ορισμένων ενζύμων που ονομάζονται αποακετυλάσες ιστονών (HDAC), τα οποία ελέγχουν τον τρόπο με τον οποίο τα γονίδια

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



διαβάζονται και χρησιμοποιούνται για την παραγωγή πρωτεϊνών, συμπεριλαμβανομένων εκείνων που συμμετέχουν στην αποκατάσταση των μυών.

Θεωρείται ότι τα δυστροφικά μυϊκά κύτταρα αυξάνουν τη δραστηριότητα των ενζύμων HDAC. Αυτό προκαλεί μείωση της παραγωγής πρωτεϊνών που αποκαθιστούν τους μυς, με αποτέλεσμα τη δημιουργία φλεγμονής, ουλών και πάχυνσης, καθώς και τη συσσώρευση λίπους στους μυς.

Αναστέλλοντας τη δραστηριότητα των HDAC, η γκιβινοστάτη συμβάλλει στην αποκατάσταση της παραγωγής των πρωτεϊνών που συμμετέχουν στην αποκατάσταση των μυών, μειώνοντας τη μυϊκή βλάβη και συμβάλλοντας στην επιβράδυνση της εξέλιξης της νόσου.

Ποια είναι τα οφέλη του Duvyzat σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μια κύρια μελέτη σε αγόρια ηλικίας 6 ετών και άνω με μυϊκή δυστροφία Duchenne που ήταν σε θέση να βαδίζουν και λάμβαναν θεραπεία με κορτικοστεροειδή, το Duvyzat αποδείχθηκε ότι επιβραδύνει τη μείωση της ικανότητας βάδισης των ασθενών.

Στη μελέτη, επιπλέον των κορτικοστεροειδών, 81 αγόρια έλαβαν Duvyzat και 39 έλαβαν εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μεταβολή της ικανότητας βάδισης των ασθενών, η οποία μετράται με βάση τον χρόνο που απαιτείται για την ανάβαση 4 σκαλοπατιών.

Μετά από 18 μήνες θεραπείας, οι ασθενείς που έλαβαν Duvyzat χρειάστηκαν κατά μέσο όρο 1,25 δευτερόλεπτα περισσότερο για να ανεβούν τα τέσσερα σκαλοπάτια. Οι ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο παρουσίασαν μεγαλύτερη αύξηση, χρειάστηκαν κατά μέσο όρο 3,03 δευτερόλεπτα περισσότερο για να ανεβούν τα τέσσερα σκαλοπάτια.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Duvyzat;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Duvyzat περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες του Duvyzat (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι διάρροια, κοιλιακό άλγος, θρομβοκυτταροπενία (χαμηλά επίπεδα αιμοπεταλίων), έμετος και υπερτριγλυκεριδαιμία (υψηλά επίπεδα τριγλυκεριδίων στο αίμα, ενός τύπου λιπιδίων).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Duvyzat στην ΕΕ;

Κατά τον χρόνο χορήγησης της άδειας κυκλοφορίας, τα κορτικοστεροειδή αποτελούσαν τα μόνα φάρμακα που χρησιμοποιούνταν για τη θεραπεία της μυϊκής δυστροφίας Duchenne. Με βάση τα αποτελέσματα της μελέτης, το Duvyzat αναμένεται να επιβραδύνει την εξέλιξη της νόσου, ιδίως όταν η χορήγησή του ξεκινά έγκαιρα. Ωστόσο, υπήρχαν αβεβαιότητες σχετικά με το μέγεθος της επίδρασης του Duvyzat και, ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων ζήτησε τη διενέργεια περαιτέρω μελετών για την επιβεβαίωση της αποτελεσματικότητας του φαρμάκου. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες του Duvyzat ήταν ως επί το πλείστον ήπιες έως μέτριες και θεωρούνται διαχειρίσιμες. Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Duvyzat υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Duvyzat έχει λάβει έγκριση υπό όρους. Αυτό σημαίνει ότι το φάρμακο εγκρίθηκε βάσει λιγότερο ολοκληρωμένων δεδομένων από αυτά που συνήθως απαιτούνται, διότι καλύπτει μια ανικανοποίητη ιατρική ανάγκη. Ο Οργανισμός θεωρεί ότι τα οφέλη από την επίσπευση της διάθεσης του φαρμάκου

υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με τη χρήση του, εν αναμονή περαιτέρω αποδεικτικών στοιχείων.

Η εταιρεία πρέπει να παράσχει περαιτέρω στοιχεία για το Duvyzat. Πρέπει να υποβάλει τα αποτελέσματα δύο μελετών για την επιβεβαίωση της ασφάλειας και της αποτελεσματικότητας του φαρμάκου, περιλαμβανομένης της περίπτωσης μακροχρόνιας χρήσης του. Ο Οργανισμός θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Duvyzat;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Duvyzat.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Duvyzat τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Duvyzat θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Duvyzat

Περισσότερες πληροφορίες για το Duvyzat διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.