



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

Información general sobre Duvyzat y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Duvyzat y para qué se utiliza?

Duvyzat es un medicamento que se utiliza para tratar la distrofia muscular de Duchenne en pacientes a partir de 6 años de edad que pueden caminar y que ya están recibiendo tratamiento con corticosteroides. La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética que causa gradualmente debilidad y pérdida de la función muscular.

La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad rara, y Duvyzat fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 4 de julio de 2012. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en el [sitio web](#) de la EMA.

Duvyzat contiene el principio activo givinostat.

¿Cómo se usa Duvyzat?

Duvyzat solo se podrá dispensar con receta médica y debe ser recetado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con distrofia muscular de Duchenne.

Duvyzat se presenta en forma de líquido para tomar por vía oral con alimentos dos veces al día. Antes de iniciar el tratamiento con Duvyzat, los médicos comprobarán que los pacientes tienen unos niveles normales de plaquetas (componentes de la sangre que contribuyen a su coagulación). Durante el tratamiento, se deben controlar periódicamente los niveles de plaquetas y triglicéridos, y puede ser necesario ajustar la dosis de Duvyzat en función de los resultados. En los pacientes que presenten diarrea (más de 4 deposiciones al día) durante el tratamiento, también puede ser necesario ajustar la dosis de Duvyzat.

Si desea más información sobre el uso de Duvyzat, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Duvyzat?

El principio activo de Duvyzat, el givinostat, bloquea la actividad de determinadas enzimas denominadas histona desacetilasas (HDAC), que controlan la lectura y el uso de los genes para producir proteínas, incluidas las que intervienen en la reparación muscular.

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



Se cree que las células musculares distróficas presentan un aumento de la actividad de las HDAC, lo que reduce la producción de proteínas reparadoras de los músculos, dando lugar a inflamación, cicatrización, engrosamiento y acumulación de grasa en los músculos.

Al bloquear la actividad de las HDAC, el givinostat ayuda a restablecer la producción de las proteínas que participan en la reparación muscular, reduciendo el daño muscular y ayudando a ralentizar la progresión de la enfermedad.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Duvyzat en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron niños mayores de 6 años con distrofia muscular de Duchenne que eran capaces de caminar y estaban recibiendo tratamiento con corticosteroides, se demostró que Duvyzat ralentizaba el deterioro de la capacidad de caminar de los pacientes.

En el estudio, 81 niños recibieron Duvyzat y 39 recibieron un placebo (un tratamiento ficticio), ambos además de los corticosteroides. El criterio principal de valoración de la eficacia fue el cambio en la capacidad de caminar de los pacientes, medido por el tiempo necesario para subir 4 escalones.

Al cabo de 18 meses de tratamiento, los pacientes que recibieron Duvyzat tardaron una media de 1,25 segundos más en subir cuatro escalones. Los pacientes que recibieron placebo experimentaron un aumento mayor del tiempo necesario, ya que tardaron una media de 3,03 segundos más.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Duvyzat?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Duvyzat se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Duvyzat (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son diarrea, dolor abdominal, trombocitopenia (niveles bajos de plaquetas), vómitos e hipertrigliceridemia (niveles elevados de triglicéridos, un tipo de grasa).

¿Por qué se ha autorizado Duvyzat en la UE?

En el momento de la autorización, los corticosteroides eran los únicos medicamentos utilizados para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne. Según los resultados del estudio, se espera que Duvyzat ralentice la progresión de la enfermedad, especialmente cuando se inicia de forma temprana. Sin embargo, existían incertidumbres sobre la magnitud del efecto de Duvyzat, por lo que la Agencia Europea de Medicamentos solicitó que se llevaran a cabo nuevos estudios para confirmar la eficacia del medicamento. Los efectos adversos de Duvyzat fueron en su mayoría leves o moderados y se consideraron controlables. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Duvyzat eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

A Duvyzat se le concedió una «autorización condicional». Esto significa que ha sido autorizado sobre la base de datos menos exhaustivos que los requeridos normalmente porque satisface una necesidad médica no cubierta. La Agencia considera que el beneficio de disponer antes de este medicamento supera los riesgos asociados al uso del medicamento mientras se esperan más pruebas.

La compañía deberá proporcionar más datos sobre Duvyzat. Deberá presentar los resultados de dos estudios para confirmar la seguridad y la eficacia del medicamento, incluso a largo plazo. La Agencia revisará anualmente la información más reciente de que se disponga.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Duvyzat?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Duvyzat se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Duvyzat se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Duvyzat se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Duvyzat

Puede encontrar más información sobre Duvyzat en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.