



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/173265/2026
EMA/H/C/006482

Daybu (*trofinetiidid*)

Lihtne ülevaade ravimist Daybu ja miks anti sellele ELis müügiluba

Mis on Daybu ja milleks seda kasutatakse?

Daybu on ravim, mida kasutatakse Rettisündroomi neurokäitumuslike sümptomite raviks täiskasvanutel ja vähemalt 5-aastastel lastel. Rettisündroom on häire, mis mõjutab aju arengut. See mõjutab peamiselt tüdrukuid ja naisi ning põhjustab intellektipuuet ning kõne ja varem omandatud oskuste kadumist 6–18 kuu vanuses.

Rettisündroomi neurokäitumuslikud sümptomid on näiteks korduvad käeliigutused, rahutus, üldised meeleoluhäired, ärevus, une- ja suhtlusprobleemid.

Rettisündroom esineb harva ja Daybu nimetati 10. augustil 2015 Rettisündroomi harvikravimiks. Harvikravimiks nimetamise lisateave on ameti veebilehel:
ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534.

Daybu sisaldab toimeainet trofinetiidi.

Kuidas Daybut kasutatakse?

Daybu on retseptiravim.

Seda turustatakse joodava vedelikuna või maosondi kaudu manustatava vedelikuna ja seda võetakse kaks korda ööpäevas.

Lisateavet Daybu kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Daybu toimib?

Insuliinisarnane kasvufaktor 1 (IGF-1) on hormoon, mis on oluline närvisüsteemi normaalses arengus ja toimimises. Rettisündroomi korral on IGF-1 sisaldus ajus normaalsest väiksem, mis arvatavasti mõjutab närvitalitlust.

Daybu toimeaine trofinetiid koosneb IGF-1-st saadud molekulist. Trofinetiidi toimemehhanism Rettisündroomi korral ei ole selge.

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



Mis on uuringute põhjal Daybu kasulikkus?

Põhiuuring tõendas, et Daybu-ravi võib leevendada Rett'i sündroomiga inimeste neurokäitumuslikke sümptomeid.

Uuringus osales 187 vähemalt 5-aastast tüdrukut ja naist, kellel oli Rett'i sündroom ja kes said 12 nädala jooksul iga päev kas Daybut või platseebot (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitajad olid muutused patsientide punktisummades kahel standardskaalal: Rett'i sündroomi käitumise küsimustiku skaala (RSBQ), mis mõõdab patsiendi käitumuslikke, emotsionaalseid ja füüsilisi sümptomeid hooldaja vastuste põhjal, ning paranemise kliinilise üldpildi (CGI-I) skaala, mis mõõdab patsiendi üldist tervise paranemist arsti tähelepanekute põhjal.

RSBQ-skaala suurim võimalik punktisumma on 90 punkti, kusjuures suurem arv viitab enamatele käitumis- ja emotsiooniprobleemidele. RSBQ-skaalal vähenesid tulemused Daybu uuringurühmas keskmiselt 4,9 punkti ja platseeborühmas keskmiselt 1,7 punkti.

CGI-I-skaalaga mõõdetakse üldist tervises seisundi paranemist, sealhulgas neurokäitumuslikke sümptomeid, 7-punktilisel skaalal, kus 1 punkt tähendab, et patsiendi seisund on alates ravi alustamisest oluliselt paranenud, ja 7 punkti, et patsiendi seisund on palju halvem. 12 nädala järel oli CGI-I keskmine punktisumma Daybu uuringurühmas 3,5 ja platseeborühmas 3,8.

Daybuga tehtud uuringuid kirjeldatakse üksikasjalikult ravimi hindamisaruandes.

Mis on Daybu kõrvalnähud ja piirangud?

Daybu kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Daybu kõige sagedamad kõrvalnähud on näiteks kõhulahtisus (võib esineda 4 patsiendil 5st) ja oksendamine (võib esineda 1 patsiendil 4st). Väga sage on ka kaalulangus, mis võib esineda enam kui 1 patsiendil 10st.

Miks Daybu ELis heaks kiideti?

Kuigi Daybu põhiuuring ei andnud tõendeid Rett'i sündroomi mõne põhisümptomi, näiteks epilepsiahoogude kohta, tõendasid RSBQ- ja CGI-I-skaalade andmed neurokäitumuslike sümptomite mõningast paranemist. Amet leidis, et kuigi see paranemine oli väike, olid need olulised sellise harvaesineva ja raske häire nagu Rett'i sündroomi kontekstis.

Ohutuse seisukohast põhjustab Daybu kõhulahtisust ja oksendamist; kuigi need kõrvalnähud ei ole üldiselt rasked, esinevad need sageli, mistõttu võivad patsiendid ravi katkestada. Daybu põhjustab ka kaalulangust, mis võib mõjutada Rett'i sündroomiga noorte patsientide kasvu. Daybu ravimiteabes on teave nende kõrvalnähtude kohta, et toetada nende ohjamist.

Euroopa Raviamet otsustas, et Daybu kasulikkus on suurem kui selle riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Kuidas tagatakse Daybu ohutu ja efektiivne kasutamine?

Daybu ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Daybu kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Daybu oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Daybu kohta

Daybu lisateave, sealhulgas pakendi infoleht ja hindamisaruanne, on ameti veebilehel:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu.

Kui soovite teada, kas seda ravimit turustatakse teie riigis, võtke ühendust [riikliku pädeva asutusega](#).