



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostaat*)

Ülevaade ravimist Duvyzat ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Duvyzat ja milleks seda kasutatakse?

Duvyzat on ravim, mida kasutatakse vähemalt 6-aastaste Duchenne'i lihasdüstroofiaga kõndimisvõimeliste patsientide raviks, kes juba saavad ravi kortikosteroididega. Duchenne'i lihasdüstroofia on geneetiline haigus, mis põhjustab progresseeruvat lihasenõrkust ja lihasfunktsiooni kadu.

Duchenne'i lihasdüstroofia esineb harva ja Duvyzat nimetati 4. juulil 2012 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on EMA [veebilehel](#).

Duvyzat sisaldab toimeainet givinostaati.

Kuidas Duvyzati kasutatakse?

Duvyzat on retseptiravim. Duvyzatiga ravi peab määrama Duchenne'i lihasdüstroofiaga patsientide ravis kogenud arst.

Duvyzati turustatakse suukaudse vedelikuna, mida võetakse koos toiduga kaks korda ööpäevas. Enne Duvyzatiga ravi alustamist veenduvad arstid, et patsientide trombotsüütide sisaldus on normaalne (trombotsüüdid on vere hüübimist soodustavad komponendid). Ravi ajal tuleb trombotsüütide ja triglütseriidide sisaldust regulaarselt jälgida ning tulemuste põhjal võib olla vaja Duvyzati annust kohandada. Patsientidel, kellel tekib ravi ajal kõhulahtisus (üle 4 väljaheite ööpäevas), võib olla vaja kohandada ka Duvyzati annust.

Lisateavet Duvyzati kasutamise kohta saate pakendi infolehtelt või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Duvyzat toimib?

Duvyzati toimeaine givinostaat blokeerib teatud ensüümide – histooni deatsetülaaside (HDAC) – toime. Need ensüümid reguleerivad geenide lugemist ja kasutamist valkude, sealhulgas lihaste taastumises osalevate valkude tootmisel.

Arvatakse, et düstroofilistel lihasrakkudel on suurendanud histooni deatsetülaaside aktiivsus, mis vähendab lihaseid parandavate valkude tootmist, põhjustades põletikku, armistumist ja paksenemist ning rasva kogunemist lihastesse.

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



Histooni deatsetülaaside toime blokeerimisega aitab givinostaat taastada lihaste taastumises osalevate valkude tootmise, vähendades lihaskahjustusi ja aidates aeglustada haiguse progresseerumist.

Milles seisneb uuringute põhjal Duvyzati kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osalesid vähemalt 6-aastased Duchenne'i lihasdüstroofiaga poisid, kes suutsid kõndida ja keda raviti kortikosteroididega, tõendati, et Duvyzat aeglustab patsientide kõndimisvõime halvenemist.

Uuringus said 81 poissi lisaks kortikosteroididele Duvyzati ja 39 poissi lisaks kortikosteroididele platseebot (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli patsientide kõndimisvõime muutus, mida mõõdeti neljast trepiastmest üles kõndimise ajaga.

Pärast 18-kuulist ravi võttis Duvyzati kasutanud patsientidel neljast trepiastmest üles kõndimine keskmiselt 1,25 sekundit kauem. Platseebot saanud patsientidel suurenes ajakulu rohkem – üles kõndimine võttis keskmiselt 3,03 sekundit kauem aega.

Mis riskid Duvyzatiga kaasnevad?

Duvyzati kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Duvyzati kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on kõhulahtisus, kõhuvalu, trombotsütopeenია (trombotsüütide ehk vereliistakute vähesus), oksendamine ja hüpertriglütserideemia (triglütseriidide (teatud rasva) suur sisaldus veres).

Miks Duvyzat ELis heaks kiideti?

Müügiloo andmise ajal olid kortikosteroidid ainsad ravimid, mida kasutati Duchenne'i lihasdüstroofia raviks. Uuringu tulemuste põhjal eeldatakse, et Duvyzat aeglustab haiguse progresseerumist, eriti kui ravi alustatakse vara. Duvyzati toime ulatus oli siiski ebaselge ja Euroopa Ravimiamet palus seetõttu läbi viia lisauuringud, et kinnitada ravimi efektiivsust. Duvyzati kõrvalnähud olid enamasti kerged kuni mõõdukad ja neid peetakse hallatavaks. Euroopa Ravimiamet otsustas seetõttu, et Duvyzati kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Duvyzat on saanud müügiloo tingimusliku heakskiidu alusel. See tähendab, et ravimile on antud müügiluba vähem põhjalike andmete alusel, kui nõutakse tavapäraselt, sest see vastab täitmata ravivajadusele. Amet on arvamisel, et täiendavaid tõendeid oodates on ravimi varasema kättesaadavuse kasulikkus suurem kui kasutamisega seotud riskid.

Ettevõtte peab esitama Duvyzati kohta lisaandmeid. Ettevõtte peab esitama kahe uuringu tulemused, et kinnitada ravimi ohutust ja efektiivsust, sealhulgas pikaajalises perspektiivis. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe.

Mis meetmed võetakse, et tagada Duvyzati ohutu ja efektiivne kasutamine?

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

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

Muu teave Duvyzati kohta

Lisateave Duvyzati kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.