



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostaatti*)

Yleistiedot Duvyzat-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Duvyzat on ja mihin sitä käytetään?

Duvyzat on lääke, jolla hoidetaan vähintään 6-vuotiaita Duchennen lihasdystrofiaa sairastavia potilaita, jotka ovat liikuntakykyisiä ja saavat jo kortikosteroidihoitoa. Duchennen lihasdystrofia on geneettinen sairaus, joka aiheuttaa vähitellen lihasheikkoutta ja surkastuttaa lihakset.

Duchennen lihasdystrofia on harvinainen sairaus, ja Duvyzat nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 4. heinäkuuta 2012. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Duvyzat-valmisteen vaikuttava aine on givinostaatti.

Miten Duvyzat-valmistetta käytetään?

Duvyzat-valmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa vain lääkäri, jolla on kokemusta Duchennen lihasdystrofiaa sairastavien potilaiden hoidosta.

Duvyzat on saatavana nesteinä, jota otetaan suun kautta aterian yhteydessä kahdesti vuorokaudessa. Ennen Duvyzat-hoidon aloittamista lääkärin on varmistettava, että potilaiden verihiutalemäärä on normaali (verihiutaleet ovat soluja, jotka edistävät veren hyytymistä). Hoidon aikana verihiutalemäärää ja triglyseridipitoisuutta on seurattava säännöllisesti, ja Duvyzat-annostusta voi olla tarpeen muuttaa tulosten perusteella. Duvyzat-annostusta voi olla tarpeen muuttaa myös, jos potilaalla ilmenee hoidon aikana ripulia (yli neljä ulostuskertaa päivässä).

Lisätietoa Duvyzat-valmisteen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Duvyzat vaikuttaa?

Duvyzat-valmisteen vaikuttava aine givinostaatti estää tiettyjen histonideasetylaaseiksi (HDAC) kutsuttujen entsyymien aktiivisuuden. Nämä entsyymit säätelevät geenien lukemista ja proteiinien valmistusta, mukaan lukien lihasten korjaamiseen osallistuvien proteiinien.

Duchennen lihasdystrofiassa HDAC:n aktiivisuuden oletetaan lisääntyvän dystrofisissa lihassoluissa, mikä vähentää lihaksia korjaavien proteiinien valmistusta ja aiheuttaa lihasten tulehdusta, arpeutumista ja paksuuntumista sekä rasvan kertymistä lihaksiin.

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



Givinostaatti estää HDAC:n aktiivisuuden ja auttaa palauttamaan lihasten korjaamiseen osallistuvien proteiinien valmistamisen ja näin vähentämään lihasvaurioita ja hidastamaan sairauden etenemistä.

Mitä hyötyä Duvyzat-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa, johon osallistui liikuntakykyisiä ja kortikosteroidihoitoa saavia vähintään 6-vuotiaita Duchennen lihasdystrofiaa sairastavia poikia, Duvyzat-valmisteen osoitettiin hidastavan potilaiden liikuntakyvyn heikkenemistä.

Tutkimuksessa 81 poikaa sai Duvyzat-valmistetta ja 39 lumelääkettä. Molemmille ryhmille annettiin samanaikaisesti kortikosteroidihoitoa. Pääasiallinen tehoa osoittava mittari oli muutos potilaiden liikuntakyvyssä, jota mitattiin neljän porrasaskelman kiipeämiseen kuluvalle ajalle.

18 kuukautta jatkuneen hoidon jälkeen Duvyzat-valmistetta saaneilla potilailla neljän porrasaskelman kiipeämiseen kului keskimäärin 1,25 sekuntia enemmän aikaa kuin hoidon alussa. Lumelääkettä saaneilla potilailla aika kasvoi keskimäärin 3,03 sekuntia.

Mitä riskejä Duvyzat-valmisteseen liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Duvyzat-valmisteen haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Duvyzat-valmisteen yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat ripuli, vatsakipu, trombositopenia (verihiutaleiden vähyys), oksentelu ja hypertriglyseridemia (triglyseridien eli erään rasvojen tyyppin korkea pitoisuus veressä).

Miksi Duvyzat on hyväksytty EU:ssa?

Myyntiluvan myöntämisen aikaan kortikosteroidit olivat ainoita lääkkeitä, joita käytettiin Duchennen lihasdystrofian hoitoon. Tutkimustulosten perusteella Duvyzat-valmisteen odotetaan hidastavan sairauden etenemistä, etenkin kun hoito aloitetaan varhain. Duvyzat-valmisteen vaikutuksen suuruus oli kuitenkin epävarma, minkä vuoksi Euroopan lääkevirasto pyysi suorittamaan lisätutkimuksia lääkkeen tehon vahvistamiseksi. Duvyzat-valmisteen haittavaikutukset olivat enimmäkseen lieviä tai kohtalaisia, ja niiden katsottiin olevan hallittavissa. Siksi Euroopan lääkevirasto katsoi, että Duvyzat-valmisteen hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Duvyzat-valmistelle myönnettiin ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa, että sille on myönnetty myyntilupa tavanomaista suppeampien tietojen perusteella, koska kyseisessä käyttöaiheessa hoitovaihtoehtoja on vain vähän. Virasto arvioi, että varhaisemman markkinoille saattamisen hyöty on suurempi kuin käyttöön liittyvät riskit sinä aikana, kun lääkkeestä odotetaan lisänäyttöä.

Yhtiön on toimitettava Duvyzat-valmisteesta lisätietoja. Sen on toimitettava kahden tutkimuksen tulokset, jotta lääkkeen turvallisuus ja teho voidaan varmistaa, myös pitkällä aikavälillä. Virasto arvioi vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot.

Miten voidaan varmistaa Duvyzat-valmisteen turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Duvyzat-valmisteen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Duvyzat-valmisteen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Duvyzat-valmisteen ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Duvyzat-valmisteesta

Lisätietoja Duvyzat-valmisteesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.