



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

Aperçu de Duvyzat et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Duvyzat et dans quel cas est-il utilisé?

Duvyzat est un médicament utilisé pour le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne chez les personnes âgées de six ans et plus qui sont en mesure de marcher et qui reçoivent un traitement concomitant par corticostéroïdes. La dystrophie musculaire de Duchenne est une maladie génétique qui provoque progressivement une faiblesse des muscles et une perte de la fonction musculaire.

La dystrophie musculaire de Duchenne est rare et Duvyzat a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 4 juillet 2012. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Duvyzat contient la substance active givinostat.

Comment Duvyzat est-il utilisé?

Duvyzat n'est délivré que sur ordonnance et doit être prescrit par un médecin expérimenté dans la prise en charge des patients atteints de la dystrophie musculaire de Duchenne.

Duvyzat est disponible sous la forme d'une suspension buvable à prendre deux fois par jour pendant le repas. Avant de commencer le traitement par Duvyzat, les médecins s'assureront que les patients présentent des taux de plaquettes normaux (les plaquettes sont des composants qui aident le sang à coaguler). Au cours du traitement, les taux de plaquettes et de triglycérides doivent être surveillés régulièrement et la posologie de Duvyzat nécessitera éventuellement une adaptation en fonction des résultats. Chez les patients présentant une diarrhée (plus de quatre selles par jour) pendant le traitement, la dose de Duvyzat devra également être ajustée.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Duvyzat, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Duvyzat agit-il?

La substance active de Duvyzat, le givinostat, bloque l'activité de certaines enzymes appelées histones déacétylases (HDAC) qui contrôlent comment les gènes sont lus et utilisés pour fabriquer des protéines, notamment ceux qui interviennent dans la réparation musculaire.

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



Une hypothèse est que les cellules musculaires dystrophiques ont augmenté l'activité des HDAC, ce qui réduit la production de protéines réparant les muscles et entraîne une inflammation, des dommages et un épaississement au niveau des fibres musculaires, ainsi qu'une accumulation de graisse dans les muscles.

En bloquant l'activité des HDAC, le givinostat contribue à rétablir la production de protéines impliquées dans la réparation musculaire, ce qui réduit ainsi les lésions musculaires et aide à ralentir la progression de la maladie.

Quels sont les bénéfices de Duvyzat démontrés au cours des études?

Dans une étude principale menée chez des garçons âgés de six ans et plus atteints de dystrophie musculaire de Duchenne, capables de marcher et traités par des corticostéroïdes, il a été démontré que Duvyzat ralentit la diminution de la capacité des patients à marcher.

Dans l'étude menée sur des garçons recevant déjà des corticostéroïdes, 81 d'entre eux ont reçu Duvyzat et les 39 autres ont reçu un placebo (un traitement fictif). Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la modification de la capacité des patients à marcher, mesurée dans le temps nécessaire pour arriver à monter quatre marches.

Après 18 mois de traitement, les patients sous Duvyzat ont mis en moyenne 1,25 seconde de plus pour monter quatre marches. Pour les personnes ayant reçu un placebo, l'augmentation a été plus importante, avec une durée moyenne de 3,03 secondes de plus.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Duvyzat?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Duvyzat, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Duvyzat (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment des diarrhées, des douleurs abdominales (maux de ventre), une thrombocytopénie (faibles taux de plaquettes sanguines), des vomissements et une hypertriglycéridémie (taux élevés de triglycérides dans le sang, un type de graisse).

Pourquoi Duvyzat est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'autorisation, les corticostéroïdes étaient les seuls médicaments utilisés pour le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne. D'après les résultats de l'étude, Duvyzat devrait ralentir la progression de la maladie, en particulier lorsqu'il est commencé à un stade précoce. Toutefois, des incertitudes subsistent quant à l'ampleur de l'effet de Duvyzat et l'Agence européenne des médicaments a donc demandé que d'autres études soient menées pour confirmer l'efficacité du médicament. Les effets indésirables observés sous Duvyzat étaient pour la plupart d'intensité légère à modérée et considérés comme gérables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Duvyzat sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Une autorisation conditionnelle a été délivrée pour Duvyzat. L'autorisation conditionnelle est accordée sur la base de données moins détaillées que celles qui sont normalement requises. Elle est accordée pour les médicaments qui répondent à un besoin médical non satisfait. L'Agence estime que les bénéfices de la mise à disposition anticipée de ce médicament sont supérieurs aux risques associés à son utilisation, dans l'attente de preuves supplémentaires.

La société doit fournir des données supplémentaires sur Duvyzat. Elle doit soumettre les résultats de deux études pour confirmer la sécurité et l'efficacité du médicament, y compris à long terme. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Duvyzat?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Duvyzat ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Duvyzat sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Duvyzat sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Duvyzat:

De plus amples informations sur Duvyzat sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.