



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Daybu (*trofinetid*)

Pregled informacija o lijeku Daybu na jednostavnom jeziku i zašto je odobren u EU-u

Što je Daybu i za što se koristi?

Daybu je lijek koji se koristi za liječenje neurobihevioralnih simptoma Rettova sindroma u odraslih i djece u dobi od 5 godina i starije. Rettov sindrom poremećaj je koji utječe na razvoj mozga. Uglavnom pogađa djevojčice i žene i dovodi do intelektualnih teškoća, kao i gubitka govora i prethodno naučenih vještina u dobi od 6 do 18 mjeseci.

Neurobihevioralni simptomi Rettova sindroma uključuju ponavljajuće pokrete ruku, nemir, probleme s općim raspoloženjem, anksioznost, probleme sa spavanjem i komunikacijom.

Rettov sindrom je rijetka bolest, a lijek Daybu dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 10. kolovoza 2015. za liječenje Rettova sindroma. Dodatne informacije o uvrštenju na popis lijekova za rijetke bolesti dostupne su na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534.

Daybu sadrži djelatnu tvar trofinetid.

Kako se Daybu primjenjuje?

Daybu se izdaje samo na recept.

Lijek je dostupan kao tekućina koja se pije ili daje putem gastrične (želučane) sonde za hranjenje dva puta dnevno.

Za više informacija o primjeni lijeka Daybu pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Daybu?

Inzulinu sličan faktor rasta 1 (IGF-1) hormon je koji je važan za normalan razvoj i funkcioniranje živčanog sustava. Kad je riječ o Rettovu sindromu, razine hormona IGF-1 u mozgu niže su od normalnih i smatra se da to utječe na funkciju živaca.

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



Djelatna tvar u lijeku Daybu, trofinetid, sastoji se od molekule dobivene iz hormona IGF-1. Način na koji trofinetid djeluje u liječenju Rettova sindroma nije jasan.

Koje su koristi od lijeka Daybu utvrđene u ispitivanjima?

Glavno ispitivanje pokazalo je da se lijekom Daybu mogu ublažiti neurobihevioralni simptomi osoba s Rettovim sindromom.

Ispitivanjem je bilo obuhvaćeno 187 djevojčica u dobi od 5 i više godina i žena s Rettovim sindromom koje su svakodnevno primale lijek Daybu ili placebo (prividno liječenje) tijekom 12 tjedana. Glavne mjere djelotvornosti bile su promjene rezultata bolesnica na dvjema standardnim ljestvicama: ljestvici iz Upitnika o ponašanju kod Rettova sindroma (engl. *Rett syndrome behaviour questionnaire*, RSBQ), kojom se mjere bihevioralni, emocionalni i fizički simptomi bolesnika na temelju odgovora njegovatelja, i ljestvici iz upitnika Klinički opći dojam – poboljšanje (engl. *clinical global impression of improvement*, CGI-I), kojom se mjeri opće poboljšanje zdravlja bolesnika koje je opazio liječnik.

Ukupni mogući rezultat za RSBQ iznosi 90, pri čemu viši rezultati upućuju na više problema s ponašanjem i emocijama. Na ljestvici RSBQ rezultat je u prosjeku pao za 4,9 bodova pri primjeni lijeka Daybu, u usporedbi sa smanjenjem od prosječno 1,7 bodova pri primjeni placeba.

Ljestvicom CGI-I mjeri se ukupno poboljšanje zdravlja, uključujući neurobihevioralne simptome, na ljestvici od 7 bodova, pri čemu 1 bod znači da se stanje bolesnika znatno poboljšalo od početka liječenja, a 7 bodova znači da je stanje bolesnika mnogo lošije. Nakon 12 tjedana prosječni rezultat na ljestvici CGI-I bio je 3,5 uz primjenu lijeka Daybu, u usporedbi s 3,8 uz primjenu placeba.

Ispitivanja provedena s lijekom Daybu detaljnije su opisana u izvješću o procjeni lijeka.

Koje su nuspojave i ograničenja povezani s lijekom Daybu?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Daybu potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Daybu uključuju proljev, koji se može javiti u 4 od 5 osoba, i povraćanje, koje se može javiti u 1 od 4 osobe. Gubitak tjelesne težine također je vrlo čest i može se javiti u više od 1 na 10 osoba.

Zašto je lijek Daybu odobren u EU-u?

Iako glavno ispitivanje lijeka Daybu ne pruža dokaze o nekim od glavnih simptoma Rettova sindroma, kao što su epileptički napadaji, podatci iz upitnika RSBQ i CGI-I pokazali su određeno poboljšanje u pogledu neurobihevioralnih simptoma. Agencija je smatrala da su ta poboljšanja, iako su mala, relevantna u kontekstu rijetkog i ozbiljnog poremećaja kao što je Rettov sindrom.

U pogledu sigurnosti primjene, Daybu izaziva proljev i povraćanje. Iako te nuspojave općenito nisu ozbiljne, često se javljaju, što može dovesti do prekida liječenja bolesnika. Daybu uzrokuje i gubitak tjelesne težine, što bi moglo utjecati na rast mladih bolesnika s Rettovim sindromom. Informacije o lijeku Daybu sadržavaju i informacije o tim nuspojavama kako bi se pomoglo u njihovoj kontroli.

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Daybu nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Daybu?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Daybu nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Daybu kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Daybu pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Daybu

Više informacija o lijeku Daybu, uključujući uputu o lijeku i izvješće o procjeni, dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu.

Za informacije o dostupnosti ovog lijeka u vašoj zemlji obratite se svojem [nacionalnom nadležnom tijelu](#).