



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

Pregled informacija o lijeku Duvyzat i zašto je odobren u EU-u

Što je Duvyzat i za što se koristi?

Duvyzat se koristi za liječenje osoba u dobi od šest godina i starijih oboljelih od Duchenneove mišićne distrofije, koje mogu hodati i koje se već liječe kortikosteroidima. Duchenneova mišićna distrofija genetska je bolest koja postupno uzrokuje slabljenje i gubitak mišićne funkcije.

Duchenneova mišićna distrofija rijetka je bolest, a lijek Duvyzat dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 4. srpnja 2012. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu](#) EMA-e.

Lijek Duvyzat sadrži djelatnu tvar givinostat.

Kako se Duvyzat primjenjuje?

Lijek Duvyzat izdaje se samo na recept, a treba ga propisati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom.

Duvyzat je dostupan u obliku tekućine koja se uzima kroz usta uz hranu dva puta na dan. Prije početka terapije lijekom Duvyzat liječnici će osigurati da bolesnici imaju normalne razine trombocita (trombociti su komponente koje pomažu pri zgrušavanju krvi). Tijekom liječenja potrebno je redovito pratiti razine trombocita i triglicerida, a dozu lijeka Duvyzat možda će biti potrebno prilagoditi na temelju rezultata. U bolesnika koji tijekom liječenja dobiju proljev (više od četiri stolice dnevno) možda će također biti potrebno prilagoditi dozu lijeka Duvyzat.

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

Kako djeluje Duvyzat?

Djelatna tvar lijeka Duvyzat, givinostat, blokira aktivnost određenih enzima, histona deacetilaze (HDAC), koji kontroliraju način na koji se geni čitaju i koriste za proizvodnju proteina, uključujući onih uključenih u oporavak mišića.

Smatra se da distrofične mišićne stanice imaju povećanu aktivnost HDAC-a, čime se smanjuje proizvodnja proteina koji sudjeluju u oporavku mišića, što dovodi do upale, ožiljaka i zadebljanja te nakupljanja masti u mišićima.

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



Blokiranjem aktivnosti HDAC-a, givinostat pomaže u ponovnoj proizvodnji proteina uključenih u oporavak mišića, čime se smanjuje oštećenje mišića i pomaže u usporavanju napredovanja bolesti.

Koje su koristi od lijeka Duvyzat utvrđene u ispitivanjima?

U glavnom ispitivanju u kojem su sudjelovali dječaci u dobi od šest godina i stariji s Duchenneovom mišićnom distrofijom koji su mogli hodati i koji su primali kortikosteroide, pokazalo se da lijek Duvyzat usporava smanjenje sposobnosti hodanja u bolesnika.

U ispitivanju je 81 dječak primio lijek Duvyzat, a 39 dječaka placebo (prividno liječenje), uz dodavanje kortikosteroida u obje skupine. Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena sposobnosti hodanja u bolesnika, mjereno vremenom potrebnim za uspon uz četiri stepenice.

Nakon 18 mjeseci liječenja bolesnicima koji su uzimali lijek Duvyzat u prosjeku je trebalo 1,25 sekundi više vremena kako bi se popeli uz četiri stepenice. U bolesnika koji su primali placebo zabilježeno je veće povećanje, odnosno uspon je u prosjeku trajao 3,03 sekunde dulje.

Koji su rizici povezani s lijekom Duvyzat?

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

Najčešće nuspojave lijeka Duvyzat (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju proljev, bol u trbuhu (abdomenu), trombocitopeniju (niske razine trombocita u krvi), povraćanje i hipertrigliceridemiju (visoke razine triglicerida, vrste masti u krvi).

Zašto je lijek Duvyzat odobren u EU-u?

U vrijeme izdavanja odobrenja kortikosteroidi su bili jedini lijekovi koji su se upotrebljavali za liječenje Duchenneove mišićne distrofije. Na temelju rezultata ispitivanja očekuje se da će lijek Duvyzat usporiti napredovanje bolesti, posebno ako se liječenje započne u ranoj fazi bolesti. Međutim, postojale su nesigurnosti u pogledu jačine učinka lijeka Duvyzat i stoga je Europska agencija za lijekove zatražila da se provedu dodatna ispitivanja kako bi se potvrdila učinkovitost lijeka. Nuspojave lijeka Duvyzat bile su uglavnom blage do umjerene i smatralo se da ih je moguće kontrolirati. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Duvyzat nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Za lijek Duvyzat izdano je „uvjetno odobrenje”. To znači da je odobrenje izdano na temelju manje opsežnih podataka nego što je to obično potrebno jer ispunjava nezadovoljenu medicinsku potrebu. Agencija smatra da korist od ranijeg stavljanja lijeka na raspolaganje nadmašuje sve rizike povezane s njegovom primjenom dok se čekaju dodatni dokazi.

Tvrtka mora dostaviti dodatne podatke o lijeku Duvyzat. Mora dostaviti rezultate dvaju ispitivanja kako bi se potvrdila sigurnost i učinkovitost lijeka, uključujući dugoročno. Svake će godine Europska agencija za lijekove procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne.

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

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

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

Ostale informacije o lijeku Duvyzat

Više informacija o lijeku Duvyzat dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.