



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Daybu (*trofinetid*)

A Daybu-ra vonatkozó közérthető áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Daybu és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Daybu-t a Rett-szindróma neuroviselkedési tüneteinek kezelésére alkalmazzák felnőtteknél, valamint 5 éves és idősebb gyermekeknél. A Rett-szindróma egy olyan betegség, amely az agy fejlődését befolyásolja. Főként a lányokat és a nőket érinti, értelmi fogyatékossgal, valamint beszédvesztéssel és a 6-18 hónapos koruk között korábban elsajátított készségek elvesztésével jár.

A Rett-szindróma viselkedésneurológiai tünetei közé tartoznak az ismétlődő kézmozgások, a nyugtalanság, az általános hangulatproblémák, a szorongás, az alvás és a kommunikáció problémái.

Mivel a Rett-szindróma „ritkának” minősül, ezért a Daybu-t 2015. augusztus 10-én a Rett-szindróma kezelésére „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség gyógyszerekénti minősítésről további információ az Ügynökség weboldalán található:

ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534

A Daybu hatóanyaga a trofinetid.

Hogyan kell alkalmazni a Daybu-t?

A Daybu csak receptre kapható.

Naponta kétszer alkalmazandó megiható, illetve gyomorba levezetett tápszondán keresztül beadható folyadék formájában kapható.

A Daybu alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását a Daybu?

Az 1-es inzulinszerű növekedési faktor (IGF-1) az idegrendszer megfelelő fejlődése és működése szempontjából lényeges hormon. Rett-szindróma esetén az IGF-1 szintje az agyban alacsonyabb a normálnál, ami vélhetően befolyásolja az idegfunkciót.

A Daybu hatóanyaga, a trofinetid, az IGF-1-ből származó molekulából áll. Nem világos, hogy a trofinetid hogyan fejti ki hatását a Rett-szindrómában.

Milyen előnyei voltak a Daybu alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálat azt mutatta, hogy a Daybu-kezelés javíthatja a Rett-szindrómában szenvedők neuroviselkedési tüneteit.

A vizsgálatban 187, Rett-szindrómában szenvedő legalább 5 éves lány és nő vett részt, akik naponta Daybu-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak 12 héten keresztül. A hatásosság fő mutatói a következők voltak: a betegek pontszámainak változása két standard skálán: a Rett-szindróma viselkedési kérdőívének (RSBQ) skálája, amely a beteg viselkedési, érzelmi és fizikai tüneteit méri a gondozó válaszai alapján, valamint a javulás klinikai globális benyomásának (CGI-I) skálája, amely a beteg klinikai orvosa által megfigyelt általános egészségi javulását méri.

Az RSBQ-n a lehetséges pontszám összesen 90, a magasabb pontszámok pedig több viselkedési és érzelmekkel kapcsolatos problémát jeleznek. Az RSBQ skálán a pontszám átlagosan 4,9 ponttal csökkent a Daybu esetében, míg a placebo esetében átlagosan 1,7 ponttal.

A CGI-I skála hétpontos skálán méri az általános egészségjavulást, beleértve a neuroviselkedési tüneteket is, ahol az 1-es pontszám azt jelzi, hogy a beteg állapota a kezelés megkezdése óta jelentősen javult, a 7-es pontszám pedig azt jelzi, hogy a beteg állapota sokkal rosszabb. 12 hét elteltével az átlagos CGI-I pontszám a Daybu esetében 3,5, míg a placebo esetében 3,8 volt.

A Daybu-val végzett vizsgálatok részletesebb leírása a gyógyszer értékelő jelentésében található.

Milyen mellékhatásokkal és korlátozásokkal jár a Daybu alkalmazása?

A Daybu alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Daybu leggyakoribb mellékhatásai közé tartozik a hasmenés, amely 5 beteg közül 4-nél jelentkezhet, és a hányás, amely 4 beteg közül 1-nél jelentkezhet. A testsúlycsökkenés is nagyon gyakori, és 10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet.

Miért engedélyezték a Daybu forgalomba hozatalát az EU-ban?

Bár a Daybu-ra vonatkozó fő vizsgálat nem szolgáltat bizonyítékkal a Rett-szindróma néhány fő tünetéről, például a görcsrohamokról, az RSBQ és a CGI-I skála adatai némi javulást mutattak a viselkedésneurológiai tünetekben. Az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy bár ezek a javulások csekélyek voltak, relevánsak egy olyan ritka és súlyos betegséggel összefüggésben, mint a Rett-szindróma.

Ami a biztonságosságot illeti, a Daybu hasmenést és hányást okoz; bár ezek a mellékhatások általában nem súlyosak, gyakran fordulnak elő, ami a kezelés abbahagyásához vezethet. A Daybu testsúlycsökkenést is okoz, ami befolyásolhatja a Rett-szindrómában szenvedő fiatal betegek növekedését. A Daybu kísérőiratai a kezelés elősegítése érdekében tartalmazznak információkat ezekről a mellékhatásokról is.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Daybu alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Daybu biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Daybu biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Daybu alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Daybu alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Daybu-val kapcsolatos egyéb információ

A Daybu-val kapcsolatban további információ, a betegtájékoztatót és az értékelő jelentést is beleértve, az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu.

Amennyiben tájékozódni szeretne arról, hogy a gyógyszer elérhető-e az Ön országában, vegye fel a kapcsolatot az [illetékes nemzeti hatósággal](#).