



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinosztát*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Duvyzat és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Duvyzat-ot 6 éves és idősebb, Duchenne-féle izomsorvadásban szenvedő, sétálni tudó és kortikoszteroidokkal már kezelt személyek kezelésére alkalmazzák. A Duchenne-féle izomsorvadás egy genetikai rendellenesség, amely fokozatosan gyengeséget és izomfunkció-vesztést okoz.

Mivel a Duchenne-féle izomsorvadás „ritkának” minősül, ezért a Duvyzat-ot 2012. július 4-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Duvyzat hatóanyaga a givinosztat.

Hogyan kell alkalmazni a Duvyzat-ot?

A Duvyzat csak receptre kapható, és a Duchenne-féle izomsorvadásban szenvedő betegek kezelésében jártas orvosnak kell felírnia.

A Duvyzat folyadék formájában kapható, amelyet szájon át, naponta kétszer, étkezés közben kell bevenni. A Duvyzat-kezelés megkezdése előtt az orvosok ellenőrzik, hogy a betegek vérlemezkeszáma (a vérlemezék a véralvadást elősegítő összetevők) megfelelő-e. A kezelés során a trombocita- és trigliceridszinteket rendszeresen ellenőrizni kell, és előfordulhat, hogy a Duvyzat dózisát az eredmények alapján módosítani kell. Azoknál a betegeknél, akik a kezelés során hasmenést (naponta több mint 4 széklet) tapasztalnak, szükség lehet a Duvyzat adagjának módosítására is.

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

Hogyan fejti ki hatását a Duvyzat?

A Duvyzat hatóanyaga, a givinosztát gátolja egyes, hiszton-deacetilázoknak (HDAC) nevezett enzimek aktivitását, amelyek a gének leolvasásának és a fehérjék előállításához való felhasználásának módját szabályozzák, beleértve az izomhelyreállításban részt vevő enzimeket is.

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



Úgy vélik, hogy a sorvadott izomsejtek fokozzák a HDAC aktivitását, csökkentve az izmok helyreállítására szolgáló fehérjék termelődését, ami gyulladás, hegesedés és vastagodáshoz, valamint az izmok zsírfelhalmozódásához vezet.

A HDAC aktivitásának gátlásával a givinosztát elősegíti az izomjavításban szerepet játszó fehérjék termelődésének helyreállítását, csökkenti az izomkárosodást és hozzájárul a betegség súlyosbodásának lassításához.

Milyen előnyei voltak az Duvyzat alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban, amelyet 6 éves és idősebb, Duchenne-féle izomsorvadásban szenvedő, járóképes és kortikoszteroidokkal kezelt fiúkkal végeztek, a Duvyzat lelassította a betegek járáskéességének romlását.

A vizsgálatban 81 fiú Duvyzat-ot, 39 pedig placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kapott, és mindkét kezelést kortikoszteroiddal egészítették ki. A hatásosság fő mutatója a betegek járáskéességének változása volt, amelyet a 4 lépcsőn történő felmenetelhez szükséges idővel mértek.

18 hónapos kezelést követően a Duvyzat-ot szedő betegeknél átlagosan 1,25 másodperccel hosszabb volt a négy lépcsőn történő felmenetel. A placebót kapó betegeknél nagyobb volt a növekedés, átlagosan 3,03 másodperccel hosszabb ideig tartott.

Milyen kockázatokkal jár a Duvyzat alkalmazása?

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

A Duvyzat leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a hasmenés, a hasi fájdalom, a trombocitopénia (alacsony vérlemezkeszám), a hányás és a hipertrigliceridémia (a trigliceridek, egy zsírfajta magas vérszintje).

Miért engedélyezték a Duvyzat forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában a kortikoszteroidok voltak az egyetlen olyan gyógyszerek, amelyeket a Duchenne-féle izomsorvadás kezelésére alkalmaztak. A vizsgálat eredményei alapján a Duvyzat várhatóan lelassítja a betegség progresszióját, különösen akkor, ha korán kezdik meg. Ugyanakkor bizonytalanságok álltak fenn a Duvyzat hatásának mértékét illetően, ezért az Európai Gyógyszerügynökség további vizsgálatok elvégzését kérte a gyógyszer hatékonyságának igazolására. A Duvyzat mellékhatásai többnyire enyhék vagy mérsékelték voltak, és kezelhetőnek tekinthetők. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Duvyzat alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Duvyzat-ot feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a feltételes forgalombahozatali engedélyt a szokásosan előírtaknál kevésbé átfogó adatok alapján adják ki olyan gyógyszerek esetében, amelyek egyes súlyos betegségek kezelésére vonatkozóan kielégítetlen gyógyszerigényt elégítenek ki. Az Ügynökség úgy véli, hogy a gyógyszer korábbi rendelkezésre állásának előnyei meghaladják a gyógyszer alkalmazásával járó kockázatokat addig is, amíg további bizonyítékokra kell várni.

A vállalatnak további adatokat kell szolgáltatnia a Duvyzat-ra vonatkozóan. Két vizsgálat eredményeit kell benyújtania a gyógyszer biztonságosságának és – többek között hosszú távú – hatásosságának igazolására. Az Ügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

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

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

A Duvyzat-val kapcsolatos egyéb információ

A Duvyzat-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.