



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Daybu (*trofinetide*)

Sintesi in linguaggio semplice di Daybu e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

### Cos'è Daybu e per cosa si usa?

Daybu è un medicinale usato per il trattamento dei sintomi neurocomportamentali della sindrome di Rett in adulti e bambini di età pari o superiore a 5 anni. La sindrome di Rett è una malattia che influisce sullo sviluppo cerebrale. Colpisce principalmente le bambine e le donne e comporta disabilità intellettiva, oltre alla perdita, tra i 6 e i 18 mesi di età, del linguaggio e delle capacità acquisite in precedenza.

I sintomi neurocomportamentali della sindrome comprendono movimenti ripetitivi delle mani, irrequietezza, problemi generali dell'umore, ansia, difficoltà a dormire e problemi di comunicazione.

La sindrome di Rett è rara e Daybu è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 10 agosto 2015 per il trattamento di questa malattia. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:  
[ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534).

Daybu contiene il principio attivo trofinetide.

### Come si usa Daybu?

Daybu può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

È disponibile sotto forma di soluzione orale, da bere o da somministrare tramite sondino gastrico per nutrizione (che arriva allo stomaco), due volte al giorno.

Per maggiori informazioni sull'uso di Daybu, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

---

**Official address** Domenico Scarlatilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Come agisce Daybu?**

Il fattore di crescita insulino-simile 1 (IGF-1) è un ormone importante per il normale sviluppo e funzionamento del sistema nervoso. Nella sindrome di Rett i livelli di IGF-1 nel cervello sono inferiori alla norma e si ritiene che ciò influisca sulla funzione nervosa.

Il principio attivo di Daybu, trofinetide, è costituito da una molecola derivata dall'IGF-1. Il meccanismo con cui trofinetide agisce nella sindrome di Rett non è chiaro.

## **Quali benefici di Daybu sono stati evidenziati negli studi?**

Uno studio principale ha dimostrato che il trattamento con Daybu può migliorare i sintomi neurocomportamentali delle persone affette da sindrome di Rett.

Lo studio ha coinvolto 187 bambine a partire dai 5 anni di età e donne affette dalla malattia, che hanno ricevuto Daybu o placebo (un trattamento fittizio) ogni giorno per 12 settimane. I principali indicatori dell'efficacia erano le variazioni dei punteggi dei pazienti su due scale standard: il questionario sul comportamento nella sindrome di Rett (RSBQ), che misura i sintomi comportamentali, emotivi e fisici del paziente sulla base delle risposte fornite da chi lo assiste, e la scala dell'impressione clinica globale di miglioramento (CGI-I), che valuta il miglioramento complessivo dello stato di salute del paziente sulla base dell'osservazione del medico.

L'RSBQ prevede un punteggio massimo di 90: quanto più alto è il valore, tanto più gravi sono i problemi comportamentali ed emotivi. Con Daybu il punteggio si è ridotto in media di 4,9 punti, rispetto a una riduzione media di 1,7 punti con il placebo.

La CGI-I misura il miglioramento complessivo dello stato di salute, compresi i sintomi neurocomportamentali, su una scala a 7 punti, in cui un punteggio pari a 1 indica che le condizioni del paziente sono molto migliorate rispetto all'inizio del trattamento e un punteggio pari a 7 che sono molto peggiorate. Dopo 12 settimane il punteggio medio CGI-I era di 3,5 con Daybu, rispetto a 3,8 con il placebo.

Gli studi effettuati con Daybu sono descritti più dettagliatamente nella relazione di valutazione del medicinale.

## **Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Daybu?**

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Daybu, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Daybu comprendono diarrea, che può riguardare 4 persone su 5, e vomito, che può riguardare 1 persona su 4. Anche il calo ponderale è molto comune e può riguardare più di 1 persona su 10.

## **Perché Daybu è autorizzato nell'UE?**

Lo studio principale su Daybu non fornisce prove relative ad alcuni dei sintomi principali della sindrome di Rett, come le crisi convulsive; i dati delle scale RSBQ e CGI-I hanno tuttavia evidenziato un certo miglioramento di quelli neurocomportamentali. L'Agenzia ha ritenuto che tali miglioramenti, pur modesti, fossero rilevanti nel contesto di una malattia rara e grave come questa.

Sotto il profilo della sicurezza, Daybu causa diarrea e vomito; sebbene tali effetti indesiderati non siano generalmente gravi, sono frequenti e ciò può indurre i pazienti a interrompere il trattamento. Il medicinale provoca inoltre un calo ponderale, che potrebbe incidere sulla crescita dei pazienti più giovani affetti dalla sindrome. Le informazioni sul prodotto contengono indicazioni per la gestione di questi effetti indesiderati.

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Daybu sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

### **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Daybu?**

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Daybu sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Daybu sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Daybu sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

### **Altre informazioni su Daybu**

Ulteriori informazioni su Daybu, compresi il foglio illustrativo e la relazione di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu).

Per informazioni sulla disponibilità di questo medicinale nel proprio paese, contattare l'[autorità nazionale competente](#).