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

Duvyzat (*givinostat*)

Sintesi di Duvyzat e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Duvyzat e per cosa si usa?

Duvyzat è un medicinale usato per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne in soggetti di età pari o superiore a 6 anni che sono in grado di camminare e che sono già in trattamento con corticosteroidi. La distrofia muscolare di Duchenne è una malattia genetica che gradualmente causa debolezza e perdita della funzione muscolare.

La distrofia muscolare di Duchenne è rara e Duvyzat è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 4 luglio 2012. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'EMA.

Duvyzat contiene il principio attivo givinostat.

Come si usa Duvyzat?

Duvyzat può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e deve essere prescritto da un medico esperto nel trattamento di pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne.

Duvyzat è disponibile sotto forma di liquido da assumere per bocca con il cibo due volte al giorno. Prima di iniziare il trattamento con Duvyzat, i medici garantiranno che i pazienti abbiano livelli di piastrine normali (le piastrine sono componenti del sangue che ne favoriscono la coagulazione). Durante il trattamento, i livelli di piastrine e di trigliceridi devono essere monitorati regolarmente e potrebbe essere necessario adeguare la dose di Duvyzat in base ai risultati. Anche nei pazienti che manifestano diarrea (più di 4 evacuazioni al giorno) durante il trattamento, potrebbe essere necessario adeguare la dose di Duvyzat.

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

Come agisce Duvyzat?

Il principio attivo di Duvyzat, givinostat, blocca l'attività di alcuni enzimi chiamati istone deacetilasi (HDAC), che controllano il modo in cui i geni vengono letti e utilizzati per produrre proteine, comprese quelle coinvolte nella riparazione muscolare.

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

© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Si ritiene che le cellule muscolari distrofiche abbiano un'attività dell'HDAC aumentata, il che riduce la produzione di proteine che riparano i muscoli, provocando infiammazione, formazione di cicatrici e ispessimento e accumulo di grasso nei muscoli.

Bloccando l'attività dell'HDAC, givinostat contribuisce a ripristinare la produzione delle proteine coinvolte nella riparazione muscolare, riducendo i danni muscolari e contribuendo a rallentare la progressione della malattia.

Quali benefici di Duvyzat sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio principale condotto su ragazzi di età pari o superiore a 6 anni affetti da distrofia muscolare di Duchenne che erano in grado di camminare ed erano trattati con corticosteroidi, Duvyzat ha dimostrato di rallentare il declino della capacità dei pazienti di camminare.

Nello studio, a 81 ragazzi è stato somministrato Duvyzat e a 39 è stato somministrato placebo (un trattamento fittizio), entrambi in aggiunta ai corticosteroidi. La principale misura di efficacia era la variazione della capacità di camminare dei pazienti, misurata in base al tempo necessario per salire 4 gradini.

Dopo 18 mesi di trattamento, i pazienti che assumevano Duvyzat hanno impiegato in media 1,25 secondi in più per salire quattro gradini. I pazienti trattati con placebo hanno fatto registrare un aumento maggiore, impiegando in media 3,03 secondi in più.

Quali sono i rischi associati a Duvyzat?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Duvyzat (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono diarrea, dolore addominale, trombocitopenia (bassi livelli di piastrine nel sangue), vomito e ipertrigliceridemia (elevati livelli di trigliceridi, un tipo di grassi, nel sangue).

Perché Duvyzat è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'autorizzazione, i corticosteroidi erano gli unici medicinali utilizzati per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne. Sulla base dei risultati dello studio, Duvyzat dovrebbe rallentare la progressione della malattia, soprattutto quando viene somministrato precocemente. Tuttavia, vi erano incertezze circa l'entità dell'effetto di Duvyzat e l'Agenzia europea per i medicinali ha pertanto chiesto che fossero condotti ulteriori studi per confermare l'efficacia del medicinale. Gli effetti indesiderati di Duvyzat sono stati per lo più da lievi a moderati e sono stati considerati gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Duvyzat sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Duvyzat ha ottenuto un'autorizzazione subordinata a condizioni. Questo significa che è stato autorizzato sulla base di dati meno esaustivi di quelli normalmente necessari, poiché risponde a un'esigenza medica non soddisfatta. L'Agenzia ritiene che i benefici derivanti dalla disponibilità anticipata del medicinale siano superiori ai rischi associati al suo utilizzo in attesa di ulteriori prove.

La ditta deve fornire ulteriori dati su Duvyzat. Deve presentare i risultati di due studi per confermare la sicurezza e l'efficacia del medicinale, anche nel lungo termine. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Duvyzat?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Duvyzat 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 Duvyzat sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Dyvuzat sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Duvyzat

Ulteriori informazioni su Duvyzat sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.