



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

Duvyzat pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Duvyzat* un kāpēc tās lieto?

Duvyzat ir zāles, ko lieto, lai ārstētu cilvēkus no sešu gadu vecuma ar Dišēna muskuļu distrofiju, kuri spēj staigāt un jau tiek ārstēti ar kortikosteroīdiem. Dišēna muskuļu distrofija ir ģenētiska slimība, kas pakāpeniski izraisa muskuļu funkcijas vājumu un zudumu.

Dišēna muskuļu distrofija ir reta, un 2012. gada 4. jūlijā *Duvyzat* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA [tīmekļa vietnē](#).

Duvyzat satur aktīvo vielu givinostatu.

Kā lieto *Duvyzat*?

Duvyzat var iegādāties tikai pret recepti, un tās drīkst izrakstīt ārsts ar pieredzi Dišēna muskuļu distrofijas pacientu ārstēšanā.

Duvyzat ir pieejamas kā šķidrums iekšķīgai lietošanai kopā ar pārtiku divas reizes dienā. Pirms uzsākt ārstēšanu ar *Duvyzat*, ārsti nodrošinās, lai pacientiem būtu normāls trombocītu līmenis (trombocīti ir sastāvdaļas, kas palīdz asinīm sarecēt). Ārstēšanas laikā regulāri jākontrolē trombocītu un triglicerīdu līmenis, un, pamatojoties uz rezultātiem, var būt jāpielāgo *Duvyzat* deva. Pacientiem, kuriem ārstēšanas laikā rodas caureja (vairāk nekā četras vēdera izejas reizes dienā), arī var būt jāpielāgo *Duvyzat* deva.

Papildu informāciju par *Duvyzat* lietošanu skatiet zāļu lietošanas instrukcijā vai jautājiet ārstam vai farmaceitam.

Kā *Duvyzat* darbojas?

Duvyzat aktīvā viela givinostats bloķē tādu noteiktu enzīmu aktivitāti, kurus dēvē par histonu deacetilāzēm (HDAC) un kuri kontrolē, kā gēni tiek nolasīti un lietoti, lai sintezētu olbaltumvielas, tostarp tās, kas iesaistītas muskuļaudu reparācijas procesā.

Tiek uzskatīts, ka distrofiskās muskuļu šūnas ir palielinājušas HDAC aktivitāti, kas samazina muskuļu reparācijas procesā iesaistīto olbaltumvielu sintēzi, izraisot iekaisumu, rētaudu veidošanos un sabiezēšanu, kā arī tauku uzkrāšanos muskuļos.

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



Bloķējot HDAC darbību, givinostats palīdz atjaunot muskuļu reparācijas procesā iesaistīto olbaltumvielu sintēzi, samazinot muskuļu bojājumu un palīdzot palēnināt slimības progresēšanu.

Kādi *Duvyzat* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā, kurā piedalījās sešus gadus veci un vecāki zēni ar Dišēna muskuļu distrofiju, kuri spēja staigāt un kurus ārstēja ar kortikosteroīdiem, tika pierādīts, ka *Duvyzat* palēnina pacientu staigāšanas spējas pasliktināšanos.

Pētījumā 81 zēns saņēma *Duvyzat* un 39 zēns saņēma placebo (fiktīva ārstēšana), abi līdzekļi tika lietoti papildus kortikosteroīdiem. Galvenais efektivitātes rādītājs bija pacientu staigāšanas spējas izmaiņas, ko mēra ar laiku, kas vajadzīgs, lai uzkāptu pa kāpnēm četrus pakāpienus.

Pēc 18 mēnešus ilgas ārstēšanas pacientiem, kuri lietoja *Duvyzat*, bija vajadzīgs vidēji par 1,25 sekundēm ilgāks laiks, lai uzkāptu pa kāpnēm četrus pakāpienus. Pacientiem, kuri saņēma placebo, bija lielāks pieaugums un vidēji vajadzēja par 3,03 sekundēm ilgāku laiku.

Kāds risks pastāv, lietojot *Duvyzat*?

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Duvyzat*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Duvyzat* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir caureja, sāpes vēderā, trombocitopēnija (zems trombocītu līmenis asinīs), vemšana un hipertrigliceridēmija (augsts triglicerīdu, kas ir tauku paveids, līmenis asinīs).

Kāpēc *Duvyzat* ir reģistrētas ES?

Reģistrācijas laikā kortikosteroīdi bija vienīgās zāles, ko lietoja Dišēna muskuļu distrofijas ārstēšanai. Pamatojoties uz pētījuma rezultātiem, sagaidāms, ka *Duvyzat* palēninās slimības progresēšanu, īpaši tad, ja tā ir sākusies agrīnā vecumā. Tomēr bija neskaidrības par *Duvyzat* iedarbības apmēru, un tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra pieprasīja veikt papildu pētījumus, lai apstiprinātu zāļu efektivitāti. *Duvyzat* blakusparādības lielākoties bija vieglas vai vidēji smagas un tika uzskatītas par kontrolējamām. Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Duvyzat*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un šīs zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Duvyzat ir reģistrētas ar nosacījumiem. Tas nozīmē, ka tās ir reģistrētas, pamatojoties uz mazāk visaptverošiem datiem, nekā parasti tiek pieprasīts, jo tās atbilst neapmierinātām medicīniskām vajadzībām. Aģentūra uzskata, ka ieguvums, ja zāles ir pieejamas agrāk, atsvēr visus riskus, kas saistīti ar šo zāļu lietošanu, kamēr tiek gaidīti papildu pierādījumi.

Uzņēmumam ir jāiesniedz papildu dati par *Duvyzat*. Tam jāiesniedz divu pētījumu rezultāti, lai apstiprinātu zāļu drošumu un efektivitāti, tostarp ilgtermiņā. Aģentūra katru gadu pārskatīs visu pieejamo jauno informāciju.

Kas tiek darīts, lai garantētu *Duvyzat* drošu un efektīvu lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu *Duvyzat* drošu un efektīvu lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Duvyzat* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Duvyzat* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai vajadzīgie pasākumi.

Cita informācija par *Duvyzat*

Sīkāka informācija par *Duvyzat* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.