



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Daybu (*trofinetide*)

Ħarsa ġenerali b'lingwaġg sempliċi lejn Daybu u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Daybu u għal xiex jintuża?

Daybu huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' sintomi newrokomportamentali tas-sindromu ta' Rett f'adulti u fi tfal minn 5 snin 'il fuq. Is-sindromu ta' Rett huwa disturb li jaffettwa l-mod ta' kif jiżviluppa l-moħħ. Jaffettwa prinċipalment lill-bniet u lin-nisa u jwassal għal diżabilità intellettuali kif ukoll telf ta' diskors u ħiliet li jkunu tgħallmu qabel fl-età ta' bejn is-6 xhur u t-18-il xahar.

Is-sintomi newrokomportamentali fis-sindromu ta' Rett jinkludu movimenti ripetittivi tal-idejn, irrekwitezza, problemi ġenerali fil-burdata, ansjetà, irqad u problemi ta' komunikazzjoni.

Is-sindromu ta' Rett huwa rari, u Daybu ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fl-10 ta' Awwissu 2015 għat-trattament tas-sindromu ta' Rett. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534.

Daybu fih is-sustanza attiva trofinetide.

Kif jintuża Daybu?

Daybu jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib.

Jigi bħala likwidu li għandu jinxtorob jew jingħata permezz ta' tubu tat-tmigh gastriku (mill-istonku) darbtejn kuljum.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Daybu, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Kif jaħdem Daybu?

Fattur ta' tkabbir li jixbah l-insulina 1 (IGF-1) huwa ormon li huwa importanti għall-iżvilupp u l-funzjonament normali tas-sistema nervuża. Fis-sindromu ta' Rett, il-livelli ta' IGF-1 fil-moħħ huma aktar baxxi min-normal, u dan huwa maħsub li jaffettwa l-funzjoni tan-nervituri.

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



Is-sustanza attiva f'Daybu, it-trofinetide, hija magħmula minn molekula derivata minn IGF-1. Il-mod kif it-trofinetide taħdem fis-sindromu ta' Rett mhuwiex ċar.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Daybu li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni wera li t-trattament b'Daybu jista' jtejjeb is-sintomi newrokomportamentali ta' persuni bis-sindromu ta' Rett.

Fl-istudju ħadu sehem 187 tifla minn 5 snin 'il fuq u nisa bis-sindromu ta' Rett li rċevew jew Daybu jew placebo (trattament finta) kuljum għal 12-il ġimgħa. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien it-tibdil fil-punteġġi tal-pazjenti fuq żewġ skali standard: l-iskala tal-kwestjonarju dwar l-imġiba tas-sindromu ta' Rett (RSBQ), li tkejjel is-sintomi komportamentali, emozzjonali u fiżiċi tal-pazjent abbażi tar-rispons tal-persuna li tiegħu ħsieb il-pazjent, u l-impressjoni globali klinika ta' titjib (CGI-I), li tkejjel it-titjib globali fis-saħħa tal-pazjenti kif osservat mit-tabib tagħhom.

Il-punteġġ totali possibbli fuq l-RSBQ huwa 90 b'punteġġi ogħla li jindikaw aktar problemi fil-imġiba u fl-emozzjonijiet. Fuq l-iskala RSBQ, il-punteġġ naqas b'medja ta' 4.9 punti b'Daybu meta mqabbel ma' tnaqqis ta' medja ta' 1.7 punti bil-placebo.

L-iskala CGI-I tkejjel it-titjib ġenerali tas-saħħa, inkluzi s-sintomi newrokomportamentali, fuq skala ta' 7 punti, fejn punteġġ ta' 1 jindika li l-kundizzjoni tal-pazjent tgiebet ħafna mill-bidu tat-trattament u punteġġ ta' 7 jindika li l-kundizzjoni tal-pazjent hija ferm aghar. Wara 12-il ġimgħa, il-punteġġ medju ta' CGI-I kien 3.5 b'Daybu meta mqabbel ma' 3.8 bi placebo.

L-istudji li saru b'Daybu huma deskritti f'aktar dettall fir-rapport ta' valutazzjoni tal-medicina.

X'inhuma l-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Daybu?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Daybu, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Daybu jinkludu dijarea, li tista' taffettwa 4 minn kull 5 persuni, u rimettar li jista' jaffettwa persuna 1 minn kull 4. It-telf fil-piż huwa komuni ħafna wkoll u jista' jaffettwa aktar minn persuna 1 minn kull 10.

Għaliex Daybu huwa awtorizzat fl-UE?

Għalkemm l-istudju ewlieni dwar Daybu ma jipprovdix evidenza dwar xi wħud mis-sintomi ewlenin tas-sindromu ta' Rett, bħal attakki, id-*data* mill-iskali RSBQ u CGI-I wriet xi titjib fis-sintomi newrokomportamentali. L-Aġenzija kkunsidrat li għalkemm dan it-titjib kien żgħir, dan kien rilevanti fil-kuntest ta' disturb rari u serju bħas-sindromu ta' Rett.

F'termini ta' sigurtà, Daybu jikkawża dijarea u rimettar; għalkemm dawn l-effetti sekondarji ġeneralment ma jkunux serji, isehħu spiss u jistgħu jwasslu biex il-pazjenti jwaqqfu t-trattament. Daybu jikkawża wkoll telf fil-piż, u dan jista' jaffettwa l-iżvilupp f'pazjenti żgħar bis-sindromu ta' Rett. L-informazzjoni dwar il-prodott għal Daybu tinkludi informazzjoni dwar dawn l-effetti sekondarji biex tappoġġa l-ġestjoni tagħhom.

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Daybu huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'mizuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Daybu?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Daybu.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Daybu tiġi ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Daybu huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex ttiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Daybu

Aktar informazzjoni dwar Daybu, inkluż il-fuljett ta' tagħrif u r-rapport ta' valutazzjoni, tinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu.

Għal informazzjoni dwar id-disponibbiltà ta' din il-mediċina f'pajjiżek, ikkuntattja lill-[awtorità nazzjonali kompetenti](#).