



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

Een overzicht van Duvyzat en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Duvyzat en wanneer wordt het voorgeschreven?

Duvyzat is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van personen van 6 jaar en ouder met spierdystrofie van Duchenne die kunnen lopen en al worden behandeld met corticosteroïden. Spierdystrofie van Duchenne is een genetische aandoening die geleidelijk verzwakking en verlies van spierfunctie veroorzaakt.

Spierdystrofie van Duchenne is zeldzaam, en Duvyzat werd op 4 juli 2012 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Duvyzat bevat de werkzame stof givinostat.

Hoe wordt Duvyzat gebruikt?

Duvyzat is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en dient te worden voorgeschreven door een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met spierdystrofie van Duchenne.

Duvyzat is verkrijgbaar in de vorm van een vloeistof die tweemaal daags met voedsel via de mond moet worden ingenomen. Voordat de behandeling met Duvyzat wordt gestart, ziet de arts erop toe dat de patiënt een normale bloedplaatjesspiegel heeft (bloedplaatjes zijn bestanddelen die het bloed helpen stollen). Tijdens de behandeling moeten de concentraties bloedplaatjes en triglyceriden regelmatig worden gecontroleerd en moet de dosis Duvyzat op basis van de resultaten mogelijk worden aangepast. Bij patiënten die tijdens de behandeling diarree (meer dan vier stoelgangen per dag) krijgen, moet de dosis Duvyzat mogelijk ook worden aangepast.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Duvyzat.

Hoe werkt Duvyzat?

De werkzame stof in Duvyzat, givinostat, blokkeert de activiteit van histondeacetylasen (HDAC's), enzymen die regelen hoe genen worden gelezen en gebruikt om eiwitten te maken, waaronder eiwitten die betrokken zijn bij spierherstel.

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



Vermoed wordt dat dystrofische spiercellen een verhoogde HDAC-activiteit hebben, waardoor er minder eiwitten worden aangemaakt die spieren herstellen. Dit leidt tot ontsteking, littekenvorming en verdikking, evenals vetophoping in de spieren.

Door de HDAC-activiteit te blokkeren, helpt givinostat de aanmaak van eiwitten die betrokken zijn bij spierherstel te herstellen, waardoor de spierschade vermindert en de progressie van de ziekte wordt vertraagd.

Welke voordelen bleek Duvyzat tijdens de studies te hebben?

In een hoofdstudie onder jongens van 6 jaar en ouder met spierdystrofie van Duchenne die konden lopen en werden behandeld met corticosteroïden, bleek Duvyzat het verlies van loopvermogen bij de patiënten te vertragen.

In de studie kregen 81 jongens Duvyzat toegediend en 39 jongens placebo (een schijnbehandeling), beide in combinatie met corticosteroïden. De voornaamste graadmeter voor werkzaamheid was de verandering in het loopvermogen van de patiënten, gemeten aan de hand van de tijd die zij nodig hadden om vier treden op te klimmen.

Na 18 maanden behandeling hadden patiënten die Duvyzat gebruikten gemiddeld 1,25 seconden langer nodig om vier treden op te komen. Bij de patiënten die placebo kregen was er sprake van een grotere stijging; zij hadden gemiddeld 3,03 seconden langer nodig.

Welke risico's houdt het gebruik van Duvyzat in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Duvyzat.

De meest voorkomende bijwerkingen van Duvyzat (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn diarree, buikpijn, trombocytopenie (laag aantal bloedplaatjes), braken en hypertriglyceridemie (hoog aantal triglyceriden, een soort vet, in het bloed).

Waarom is Duvyzat geregistreerd in de EU?

Ten tijde van de goedkeuring waren corticosteroïden de enige geneesmiddelen die werden gebruikt voor de behandeling van spierdystrofie van Duchenne. Op basis van de onderzoeksresultaten wordt verwacht dat Duvyzat de progressie van de ziekte vertraagt, met name als de behandeling vroeg wordt gestart. Er bestond echter onzekerheid over de omvang van het effect van Duvyzat en het Europees Geneesmiddelenbureau heeft het bedrijf daarom verzocht om verdere studies uit te voeren om de werkzaamheid van het geneesmiddel te bevestigen. De bijwerkingen van Duvyzat waren meestal licht tot matig van aard en werden beheersbaar geacht. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Duvyzat groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Aan Duvyzat is 'voorwaardelijke registratie' verleend. Dit betekent dat het middel is toegelaten op basis van minder volledige gegevens dan gewoonlijk, omdat het voldoet aan een on vervulde medische behoefte. Het Geneesmiddelenbureau is van mening dat het voordeel van het in een vroeger stadium verkrijgbaar zijn van het geneesmiddel groter is dan de risico's die gepaard gaan met het gebruik ervan in afwachting van verder bewijs.

Het bedrijf moet nadere gegevens over Duvyzat verstrekken. Het moet de resultaten van twee studies indienen om de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel, ook op lange termijn, te

bevestigen. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Duvyzat te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Duvyzat, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Duvyzat continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Duvyzat worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Duvyzat

Meer informatie over Duvyzat is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.