



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*giwinostat*)

Przegląd wiedzy na temat leku Duvyzat i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Duvyzat i w jakim celu się go stosuje

Duvyzat jest lekiem stosowanym w leczeniu osób od 6. roku życia z dystrofią mięśniową Duchenne’a, które są w stanie chodzić i są już leczone kortykosteroidami. Dystrofia mięśniowa Duchenne’a jest chorobą genetyczną, która stopniowo powoduje osłabienie i utratę funkcji mięśni.

Ze względu na to, że dystrofia mięśniowa Duchenne’a jest chorobą rzadko występującą, w dniu 4 lipca 2012 r. lek Duvyzat uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Duvyzat jest giwinostat.

Jak stosować lek Duvyzat

Lek wydawany na receptę. Jego stosowanie powinien przepisywać lekarz doświadczony w leczeniu pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne’a.

Lek Duvyzat jest dostępny w postaci płynu do przyjmowania doustnego, wraz z posiłkiem, dwa razy na dobę. Przed rozpoczęciem leczenia lekiem Duvyzat lekarz upewni się, że miano płytek krwi (składników, które pomagają krwi krzepnąć) u pacjenta jest prawidłowe. Podczas leczenia należy regularnie monitorować miano płytek krwi i stężenie trójglicerydów. Na podstawie uzyskanych wyników dawka leku Duvyzat może być modyfikowana. U pacjentów, u których w trakcie leczenia wystąpi biegunka (więcej niż 4 stolce na dobę), również może być konieczne dostosowanie dawki leku Duvyzat.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Duvyzat znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Duvyzat

Substancja czynna leku Duvyzat, giwinostat, blokuje aktywność pewnego enzymu, nazywanego deacetylazą histonową (ang. *histone deacetylase*, HDAC), który kontroluje sposób odczytywania genów i wykorzystywania ich do wytwarzania białek, w tym białek biorących udział w naprawie mięśni.

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



Uważa się, że w dystroficznych komórkach mięśniowych aktywność HDAC jest podwyższona, co ogranicza wytwarzanie białek naprawiających mięśnie i prowadzi do powstawania stanu zapalnego, bliznowacenia, przerostu mięśni i gromadzenia się w nich tłuszczu.

Blokując aktywność HDAC, giwinostat pomaga przywrócić produkcję białek biorących udział w naprawie mięśni, dzięki czemu zmniejsza uszkodzenie mięśni i spowalnia postęp choroby.

Korzyści ze stosowania leku Duvyzat wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem chłopców od 6. roku życia z dystrofią mięśniową Duchenne’a, którzy byli w stanie chodzić i byli leczeni kortykosteroidami, wykazano, że lek Duvyzat spowalnia spadek zdolności chodzenia u pacjentów.

W badaniu tym 81 chłopców otrzymywało lek Duvyzat, a 39 — placebo (leczenie pozorowane), każdorazowo w dodatku do kortykosteroidów. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana w zdolności chodzenia u pacjentów, mierzona czasem potrzebnym do wejścia na 4 schodki.

Po 18 miesiącach leczenia u pacjentów otrzymujących lek Duvyzat czas do wejścia na 4 schodki był średnio o 1,25 sekundy dłuższy, przy czym u pacjentów otrzymujących placebo wydłużenie było znacznie większe i wynosiło średnio 3,03 sekundy.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Duvyzat

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Duvyzat znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Duvyzat (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: biegunka, ból brzucha, małopłytkowość (niska liczba płytek krwi), wymioty i hipertrójglicerydemia (zwiększenie stężenia trójglicerydów — rodzaju tłuszczu — we krwi).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Duvyzat w UE

W chwili wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu jedynymi lekami stosowanymi w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne’a były kortykosteroidy. Na podstawie wyników badania oczekuje się, że lek Duvyzat spowolni progresję choroby, zwłaszcza gdy leczenie zostanie wcześniej włączone. Istniały jednak wątpliwości co do siły działania leku Duvyzat i w związku z tym Europejska Agencja Leków zwróciła się o przeprowadzenie dalszych badań w celu potwierdzenia skuteczności leku. Działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Duvyzat miały przeważnie nasilenie łagodne lub umiarkowane i uznano je za możliwe do opanowania. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Duvyzat przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Duvyzat uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu. Oznacza to, że lek został dopuszczony do obrotu na podstawie mniej wyczerpujących danych niż te, które są zwykle wymagane, ponieważ spełnia niezaspokojoną potrzebę medyczną. Agencja uważa, że korzyści z wcześniejszego udostępnienia leku przewyższają ryzyko związane z jego stosowaniem w oczekiwaniu na dalsze dowody.

Firma musi dostarczyć więcej danych dotyczących leku Duvyzat, w tym przedstawić wyniki dwóch badań potwierdzających bezpieczeństwo stosowania i skuteczność leku — także w perspektywie długoterminowej. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Duvyzat

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Duvyzat w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Duvyzat są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Duvyzat są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Duvyzat

Dalsze informacje dotyczące leku Duvyzat znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.