



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Daybu (*trofinetide*)

Um resumo em linguagem simples sobre Daybu e porque está autorizado na UE

O que é Daybu e para que é utilizado?

Daybu é um medicamento utilizado para o tratamento dos sintomas neurocomportamentais da síndrome de Rett em adultos e crianças com idade igual ou superior a 5 anos. A síndrome de Rett é uma doença que afeta a forma como o cérebro se desenvolve. Afeta principalmente raparigas e mulheres e conduz a deficiências intelectuais, bem como à perda da fala e de competências anteriormente adquiridas entre os 6 e os 18 meses de idade.

Os sintomas neurocomportamentais na síndrome de Rett incluem movimentos repetitivos das mãos, agitação, problemas gerais de humor, ansiedade, perturbações do sono e problemas de comunicação.

A síndrome de Rett é uma doença rara e Daybu foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 10 de agosto de 2015 para o tratamento da síndrome de Rett. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no sítio Web da Agência: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534

Daybu contém a substância ativa trofinetide.

Como se utiliza Daybu?

Daybu só pode ser obtido mediante receita médica.

Está disponível na forma de um líquido a ser bebido ou administrado através de uma sonda de alimentação gástrica (através do estômago) duas vezes por dia.

Para mais informações sobre a utilização de Daybu, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

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



Como funciona Daybu?

O fator de crescimento semelhante à insulina 1 (IGF-1) é uma hormona importante para o desenvolvimento e o funcionamento normais do sistema nervoso. Na síndrome de Rett, os níveis de IGF-1 no cérebro são inferiores ao normal, o que se pensa que afeta a função nervosa.

A substância ativa de Daybu, a trofinetide, é constituída por uma molécula derivada do IGF-1. A forma como a trofinetide funciona na síndrome de Rett não é clara.

Quais os benefícios demonstrados por Daybu durante os estudos?

Um estudo principal demonstrou que o tratamento com Daybu pode melhorar os sintomas neurocomportamentais de pessoas com síndrome de Rett.

O estudo incluiu 187 raparigas a partir dos 5 anos de idade e mulheres com síndrome de Rett que receberam Daybu ou um placebo (tratamento simulado) todos os dias durante 12 semanas. Os principais parâmetros de eficácia foram as alterações nas pontuações dos doentes em duas escalas padrão: a escala do Questionário de Comportamento da Síndrome de Rett (RSBQ), que mede os sintomas comportamentais, emocionais e físicos do doente com base nas respostas do cuidador, e a escala de Impressão Clínica Global-Melhoria (CGI-I), que mede a melhoria global da saúde do doente observada pelo médico.

A pontuação total possível para o RSBQ é de 90, com pontuações mais elevadas a indicar mais problemas de comportamento e emoções. Na escala do RSBQ, a pontuação diminuiu 4,9 pontos, em média, com Daybu, em comparação com uma redução de 1,7 pontos, em média, com o placebo.

A escala CGI-I mede a melhoria global da saúde, incluindo os sintomas neurocomportamentais, numa escala de 7 pontos, em que uma pontuação de 1 indica que a doença do doente melhorou muito desde o início do tratamento e uma pontuação de 7 indica que a doença do doente está muito pior. Após 12 semanas, a pontuação média na CGI-I foi de 3,5 com Daybu, em comparação com 3,8 com o placebo.

Os estudos realizados com Daybu são descritos de forma mais pormenorizada no relatório de avaliação do medicamento.

Quais são os efeitos secundários e as restrições de utilização de Daybu?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Daybu, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Daybu incluem diarreia, que pode afetar 4 em cada 5 pessoas, e vómitos, que podem afetar 1 em cada 4 pessoas. A perda de peso também é muito frequente e pode afetar mais de 1 em cada 10 pessoas.

Porque está Daybu autorizado na UE?

Embora o estudo principal de Daybu não forneça evidências sobre alguns dos principais sintomas da síndrome de Rett, tais como crises, os dados das escalas RSBQ e CGI-I mostraram alguma melhoria nos sintomas neurocomportamentais. A Agência considerou que, ainda que pequenas, estas melhorias eram relevantes no contexto de uma doença rara e grave como a síndrome de Rett.

Em termos de segurança, Daybu causa diarreia e vômitos; embora não sejam geralmente graves, estes efeitos secundários ocorrem com frequência, o que pode levar os doentes a interromper o tratamento. Daybu também causa perda de peso, o que pode afetar o crescimento de doentes jovens com síndrome de Rett. A informação do medicamento de Daybu inclui informações sobre estes efeitos secundários para apoiar o seu tratamento.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Daybu são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Daybu?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Daybu.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Daybu são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Daybu são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Daybu

Estão disponíveis mais informações sobre Daybu, incluindo o Folheto Informativo e o relatório de avaliação, no sítio Web da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu.

Para obter informações sobre a disponibilidade deste medicamento no seu país, contacte a sua [autoridade nacional competente](#).