



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

Um resumo sobre Duvyzat e por que está autorizado na UE

O que é Duvyzat e para que é utilizado?

Duvyzat é um medicamento utilizado no tratamento de doentes com idade igual ou superior a 6 anos com distrofia muscular de Duchenne, capazes de andar e que já estão a ser tratados com corticosteroides. A distrofia muscular de Duchenne é uma doença genética que causa gradualmente o enfraquecimento e a perda da função muscular.

A distrofia muscular de Duchenne é rara e Duvyzat foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 4 de julho de 2012. Estão disponíveis mais informações sobre a designação de medicamento órfão no [sítio Web](#) da EMA.

Duvyzat contém a substância ativa givinostat.

Como se utiliza Duvyzat?

Duvyzat só pode ser obtido mediante receita médica e deve ser receitado por um médico com experiência no tratamento de doentes com distrofia muscular de Duchenne.

Duvyzat está disponível na forma de um líquido a ser administrado por via oral, com alimentos, duas vezes por dia. Antes de iniciar o tratamento com Duvyzat, os médicos devem assegurar-se de que os doentes apresentam níveis plaquetários normais (as plaquetas são componentes que ajudam o sangue a coagular). Durante o tratamento, os níveis plaquetários e de triglicéridos devem ser monitorizados regularmente e a dose de Duvyzat pode ter de ser ajustada com base nos resultados. Nos doentes que apresentem diarreia (mais de quatro evacuações por dia) durante o tratamento, a dose de Duvyzat também pode ter de ser ajustada.

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

Como funciona Duvyzat?

A substância ativa de Duvyzat, o givinostat, bloqueia a atividade de determinadas enzimas denominadas histonas deacetilases (HDAC), que controlam a forma como os genes são lidos e utilizados para produzir proteínas, incluindo as envolvidas na reparação muscular.

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



Pensa-se que as células musculares distróficas aumentaram a atividade de HDAC, o que reduz a produção de proteínas que reparam os músculos, causando inflamação, cicatrização e espessamento e acumulação de matéria gorda nos músculos.

Ao bloquear a atividade da HDAC, o givinostat ajuda a recuperar a produção das proteínas envolvidas na reparação muscular para reduzir os danos musculares e atrasar a progressão da doença.

Quais os benefícios demonstrados por Duvyzat durante os estudos?

Num estudo principal em participantes do sexo masculino com idade igual ou superior a 6 anos com distrofia muscular de Duchenne que conseguiam caminhar e que estavam a ser tratados com corticosteroides, Duvyzat demonstrou atrasar o declínio da capacidade de marcha dos doentes.

No estudo, 81 participantes receberam Duvyzat e 39 receberam um placebo (tratamento simulado), ambos para além dos corticosteroides. O principal parâmetro de eficácia foi a alteração na capacidade de marcha dos doentes, medida pelo tempo necessário para subir quatro degraus.

Após 18 meses de tratamento, os doentes que tomaram Duvyzat demoraram, em média, mais 1,25 s a subir quatro degraus. Os doentes que receberam o placebo apresentaram um aumento superior, tendo demorado, em média, mais 3,03 s.

Quais são os riscos associados a Duvyzat?

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

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Duvyzat (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem diarreia, dor abdominal (dor de barriga), trombocitopenia (níveis baixos de plaquetas sanguíneas), vómitos e hipertrigliceridemia (níveis elevados de triglicéridos no sangue, um tipo de matéria gorda).

Por que está Duvyzat autorizado na UE?

No momento da autorização, os corticosteroides eram os únicos medicamentos utilizados no tratamento da distrofia muscular de Duchenne. Com base nos resultados do estudo, espera-se que Duvyzat atrase a progressão da doença, especialmente se for iniciado precocemente. No entanto, existiam incertezas sobre a amplitude do efeito de Duvyzat, pelo que a Agência Europeia de Medicamentos solicitou a realização de estudos adicionais para confirmar a eficácia do medicamento. Os efeitos secundários associados a Duvyzat foram, na sua maioria, ligeiros a moderados e considerados tratáveis. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Duvyzat são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Foi concedida a Duvyzat uma autorização condicional. Isto significa que o medicamento foi autorizado com base em dados menos completos do que os normalmente exigidos, uma vez que preenche uma necessidade médica por satisfazer. A Agência considera que os benefícios de ter o medicamento disponível mais cedo são superiores a quaisquer riscos associados à sua utilização enquanto se aguardam mais evidências.

A empresa deve proporcionar mais dados sobre Duvyzat. Deve apresentar os resultados de dois estudos para confirmar a segurança e a eficácia do medicamento, incluindo a longo prazo. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis.

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

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 Duvyzat.

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

Outras informações sobre Duvyzat

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.