



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Daybu (*trofinetidă*)

Prezentare generală în limbaj simplu a Daybu și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Daybu și pentru ce se utilizează?

Daybu este un medicament utilizat în tratamentul simptomelor neurocomportamentale ale sindromului Rett la adulți, adolescenți și copii cu vârsta de 5 ani și peste. Sindromul Rett este o tulburare care afectează dezvoltarea creierului. Afectează în principal fetele și femeile și duce la invaliditate intelectuală, precum și la pierderea vorbirii și a abilităților dobândite anterior, la vârste între 6 și 18 luni.

Simptomele neurocomportamentale ale sindromului Rett sunt: mișcări repetitive ale mâinilor, agitație, tulburări generale de dispoziție, anxietate, tulburări de somn și de comunicare.

Sindromul Rett este rar, iar Daybu a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 10 august 2015 pentru tratamentul sindromului Rett. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534

Daybu conține substanța activă trofinetidă.

Cum se utilizează Daybu?

Daybu se poate obține numai pe bază de prescripție medicală.

Este disponibil sub formă de lichid care se bea sau se administrează prin sondă gastrică (prin stomac) de două ori pe zi.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Daybu, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

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



Cum acționează Daybu?

Factorul de creștere 1 asemănător insulinei (IGF-1) este un hormon important pentru dezvoltarea și funcționarea normală a sistemului nervos. În sindromul Rett, nivelurile de IGF-1 din creier sunt mai mici decât cele normale, ceea ce se consideră că afectează funcția nervoasă.

Substanța activă din Daybu, trofinetida, este alcătuită dintr-o moleculă derivată din IGF-1. Modul în care acționează trofinetida în sindromul Rett este neclar.

Ce beneficii a prezentat Daybu pe parcursul studiilor?

Un studiu principal a arătat că tratamentul cu Daybu poate îmbunătăți simptomele neurocomportamentale ale persoanelor cu sindrom Rett.

Studiul a cuprins 187 de fete cu vârsta de cel puțin 5 ani și femei cu sindrom Rett care au primit fie Daybu, fie placebo (un preparat inactiv) în fiecare zi, timp de 12 săptămâni. Principalele măsuri ale eficacității au fost schimbările în scorul pacienților pe două scări standard: scara chestionarului privind comportamentul în sindromul Rett (RSBQ), care măsoară simptomele comportamentale, emoționale și fizice ale pacientului pe baza răspunsurilor îngrijitorului și scara de percepție clinică globală a ameliorării (CGI-I), care măsoară îmbunătățirea generală a sănătății pacientului, așa cum este observată de clinicianul lui.

Punctajul total posibil pentru RSBQ este de 90, punctajele mai mari indicând mai multe probleme legate de comportament și emoții. Pe scara RSBQ, scorul a scăzut în medie cu 4,9 puncte în cazul administrării Daybu, față de o reducere medie de 1,7 puncte în cazul administrării placebo.

Scara CGI-I măsoară îmbunătățirea generală a sănătății, inclusiv simptomele neurocomportamentale, pe o scară de 7 puncte, în care un scor de 1 arată că starea pacientului s-a îmbunătățit foarte mult de la inițierea tratamentului, iar un scor de 7 arată că starea pacientului este cu mult mai gravă. După 12 săptămâni, scorul mediu CGI-I a fost de 3,5 cu Daybu, față de 3,8 cu placebo.

Studiile efectuate cu Daybu sunt descrise mai detaliat în raportul de evaluare a medicamentului.

Care sunt reacțiile adverse și restricțiile asociate cu Daybu?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Daybu, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Daybu sunt diareea, care poate afecta 4 persoane din 5, și vărsăturile, care pot afecta 1 persoană din 4. Scăderea în greutate este, de asemenea, foarte frecventă și poate afecta mai mult de 1 persoană din 10.

De ce a fost autorizat Daybu în UE?

Deși studiul principal privind Daybu nu furnizează dovezi privind unele din simptomele esențiale ale sindromului Rett, de exemplu crizele convulsive, datele din scările RSBQ și CGI-I au arătat o oarecare îmbunătățire a simptomelor neurocomportamentale. Agenția a considerat că, deși aceste îmbunătățiri au fost minore, ele sunt relevante în contextul unei afecțiuni rare și grave, cum este sindromul Rett.

În ce privește siguranța, Daybu provoacă diaree și vărsături; deși aceste reacții adverse nu sunt, în general, grave, ele apar frecvent, ceea ce poate determina pacienții să oprească tratamentul. De asemenea, Daybu cauzează scădere în greutate, ceea ce poate afecta dezvoltarea pacienților tineri cu sindrom Rett. Informațiile referitoare la produs pentru Daybu conțin informații privind aceste reacții adverse menite să ajute la gestionarea lor.

Agencia Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Daybu sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Daybu?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Daybu, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Daybu sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Daybu sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Daybu

Mai multe informații despre Daybu, inclusiv prospectul și raportul de evaluare, se pot găsi pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu.

Pentru informații despre disponibilitatea acestui medicament în țara dumneavoastră, contactați [autoritatea națională competentă](#).