



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

Prezentare generală a Duvyzat și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Duvyzat și pentru ce se utilizează?

Duvyzat este indicat pentru tratamentul distrofiei musculare Duchenne la pacienți care au capacitatea de a merge, cu vârsta de cel puțin 6 ani, cărora li se administrează tratament cu corticosteroizi. Distrofia musculară Duchenne este o boală genetică care duce treptat la slăbiciune și la pierderea funcției musculare.

Distrofia musculară Duchenne este rară, iar Duvyzat a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 4 iulie 2012. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](#) EMA.

Duvyzat conține substanța activă givinostat.

Cum se utilizează Duvyzat?

Duvyzat se poate obține numai pe bază de prescripție medicală și trebuie prescris de către un medic cu experiență în tratarea distrofiei musculare Duchenne.

Duvyzat este disponibil sub formă de lichid cu administrare orală împreună cu alimente de două ori pe zi. Înainte de începerea tratamentului cu Duvyzat, medicii se vor asigura că pacienții au un nivel normal de trombocite (trombocitele sunt componente care ajută la coagularea sângelui). În timpul tratamentului, nivelurile trombocitelor și trigliceridelor trebuie monitorizate regulat și poate fi necesară ajustarea dozei de Duvyzat pe baza rezultatelor. Doza de Duvyzat trebuie ajustată, de asemenea, în caz de diaree (peste 4 scaune pe zi) pe parcursul tratamentului.

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

Cum acționează Duvyzat?

Substanța activă din Duvyzat, givinostatul, blochează activitatea enzimei numite histonă deacetilază (HDAC), care controlează modul în care genele sunt citite și utilizate pentru a produce proteine, inclusiv cele implicate în repararea mușchilor.

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



Se presupune că celulele musculare distrofice au o activitate HDAC crescută, ceea ce reduce producția de proteine care repară mușchii, ducând la inflamație, cicatrizare și îngroșare, precum și acumularea de țesut adipos în mușchi.

Blocând activitatea HDAC, givinostatul ajută la restabilirea producției de proteine implicate în repararea mușchilor, reducând leziunile musculare și ajutând la încetinirea progresiei bolii.

Ce beneficii a prezentat Duvyzat pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal efectuat la băieți cu vârsta de cel puțin 6 ani cu distrofie musculară Duchenne, care aveau capacitatea de a se merge și care erau tratați cu corticosteroizi, s-a demonstrat că Duvyzat încetinește deteriorarea capacității pacienților de merge.

În cadrul studiului, 81 de băieți au primit Duvyzat, iar 39 au primit placebo (un preparat inactiv), ambele în asociere cu corticosteroizi. Criteriul final principal de evaluare a fost modificarea capacității pacienților de a merge, măsurată prin timpul necesar pentru a urca 4 trepte.

După 18 luni de tratament, pacienții care au luat Duvyzat au avut nevoie, în medie, de 1,25 secunde în plus pentru a urca patru trepte. Pacienții cărora li s-a administrat placebo au avut nevoie, în medie, de 3,03 secunde în plus.

Care sunt riscurile asociate cu Duvyzat?

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

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Duvyzat (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt diaree, dureri abdominale (de burtă), trombocitopenie (număr mic de trombocite), vărsături și hipertrigliceridemie (valori crescute ale trigliceridelor în sânge, un tip de grăsime).

De ce a fost autorizat Duvyzat în UE?

La momentul autorizării, corticosteroizii erau singurele medicamente utilizate pentru tratamentul distrofiei musculare Duchenne. Pe baza rezultatelor studiului, se preconizează că Duvyzat va încetini evoluția bolii, în special la începerea tratamentului în stadii incipiente. Au existat însă incertitudini cu privire la amploarea efectului Duvyzat, iar Agenția Europeană pentru Medicamente a solicitat, în consecință, efectuarea de studii suplimentare pentru a confirma eficacitatea medicamentului. Majoritatea reacțiilor adverse asociate cu Duvyzat au fost ușoare până la moderate și sunt considerate gestionabile terapeutic. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Duvyzat sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Duvyzat a primit autorizare condiționată. Acest lucru înseamnă că medicamentul a fost autorizat pe baza unor date mai puțin cuprinzătoare decât cele solicitate în mod normal, deoarece îndeplinește o nevoie medicală nesatisfăcută. Agenția consideră că beneficiile disponibilității timpurii a medicamentului sunt mai mari decât riscurile asociate cu utilizarea lui în așteptarea de dovezi suplimentare.

Compania trebuie să furnizeze date suplimentare cu privire la Duvyzat. Compania trebuie să prezinte rezultatele a două studii pentru a confirma siguranța și eficacitatea medicamentului, inclusiv pe termen lung. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute.

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

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

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

Alte informații despre Duvyzat

Mai multe informații despre Duvyzat se pot găsi pe site-ul agenției:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.