



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Daybu (*trofinetid*)

Prehľad o lieku Daybu v zrozumiteľnom jazyku a prečo bol liek v EÚ povolený

Čo je liek Daybu a na čo sa používa?

Daybu je liek, ktorý sa používa na liečbu neurobehaviorálnych príznakov Rettovho syndrómu u dospelých a detí vo veku od 5 rokov. Rettov syndróm je porucha, ktorá ovplyvňuje spôsob, akým sa mozog vyvíja. Postihuje najmä dievčatá a ženy a vedie k mentálnemu postihnutiu, ako aj k strate reči a predtým naučených zručností vo veku od 6 do 18 mesiacov.

Neurobehaviorálne príznaky Rettovho syndrómu zahŕňajú opakujúce sa pohyby rúk, nepokoj, všeobecné problémy s náladou, úzkosť, problémy so spánkom a komunikačné problémy.

Rettov syndróm je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Daybu 10. augusta 2015 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia na liečbu Rettovho syndrómu. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534.

Liek Daybu obsahuje liečivo trofinetid.

Ako sa liek Daybu používa?

Výdaj lieku Daybu je viazaný na lekársky predpis.

Liek je dostupný vo forme tekutiny, ktorá sa pije alebo podáva prostredníctvom žalúdočnej napájacej trubice dvakrát denne.

Viac informácií o používaní lieku Daybu si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Daybu účinkuje?

Rastový faktor podobný inzulínu 1 (IGF-1) je hormón, ktorý je dôležitý pre normálny vývoj a fungovanie nervového systému. Pri Rettovom syndróme sú hladiny IGF-1 v mozgu nižšie ako normálne, čo pravdepodobne ovplyvňuje nervovú funkciu.

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



Liečivo lieku Daybu, trofinetid, sa skladá z molekuly získanej z IGF-1. Spôsob, akým trofinetidín účinkuje pri Rettovom syndróme, nie je jasný.

Aký prínos lieku Daybu sa preukázal v štúdiách?

V hlavnej štúdii sa preukázalo, že liečba liekom Daybu môže zlepšiť neurobehaviorálne príznaky osôb s Rettovým syndrómom.

Na štúdii sa zúčastnilo 187 dievčat vo veku od 5 rokov a žien s Rettovým syndrómom, ktoré dostávali buď liek Daybu alebo placebo (zdanlivý liek) každý deň počas 12 týždňov. Hlavným meradlom účinnosti boli zmeny v skóre pacientok na dvoch štandardných stupniciach: na stupnici dotazníka týkajúceho sa správania pri Rettovom syndróme (RSBQ), ktorou sa merajú príznaky správania, emocionálne a fyzické príznaky pacienta na základe odpovedí jeho opatrovateľa, a na stupnici klinického globálneho dojmu zlepšenia (CGI-I), ktorou sa meria celkové zlepšenie zdravia pacienta, ako ho zaznamenal lekár.

Celkové možné skóre na RSBQ je 90, pričom vyššie skóre znamená viac problémov so správaním a emóciami. Na stupnici RSBQ skóre kleslo v priemere o 4,9 bodu pri užívaní lieku Daybu v porovnaní so znížením v priemere o 1,7 bodu pri užívaní placeba.

Stupnicou CGI-I sa meria celkové zlepšenie zdravia vrátane neurobehaviorálnych príznakov na 7-bodovej stupnici, pričom skóre 1 znamená, že stav pacienta sa od začatia liečby výrazne zlepšil, a skóre 7 znamená, že stav pacienta je oveľa horší. Po 12 týždňoch bolo priemerné skóre CGI-I 3,5 pri užívaní lieku Daybu v porovnaní s 3,8 pri užívaní placeba.

Štúdie uskutočnené s liekom Daybu sú podrobnejšie opísané v hodnotiacej správe o lieku.

Aké sú vedľajšie účinky lieku Daybua a obmedzenia pri jeho používaní?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Daybu a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Daybu sú hnačka, ktorá môže postihnúť 4 z 5 osôb, a vracanie, ktoré môže postihnúť 1 zo 4 osôb. Úbytok hmotnosti je takisto veľmi častý a môže postihnúť viac ako 1 osobu z 10.

Prečo bol liek Daybu povolený v EÚ?

Hoci hlavná štúdia o lieku Daybu neposkytuje dôkazy o niektorých kľúčových príznakoch Rettovho syndrómu, ako sú napríklad záchvaty, údaje zo stupníc RSBQ a CGI-I preukázali určité zlepšenie neurobehaviorálnych príznakov. Agentúra usúdila, že hoci boli tieto zlepšenia malé, boli relevantné v súvislosti so zriedkavou a závažnou poruchou, ako je Rettov syndróm.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, liek Daybu spôsobuje hnačku a vracanie; hoci tieto vedľajšie účinky nie sú vo všeobecnosti závažné, vyskytujú sa často, čo môže viesť k zastaveniu liečby pacientov. Daybu spôsobuje aj úbytok hmotnosti, čo by mohlo ovplyvniť rast mladých pacientov s Rettovým syndrómom. Informácie o lieku Daybu obsahujú informácie o týchto vedľajších účinkoch na podporu ich zvládania.

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínos lieku Daybu prevyšuje riziká spojené s jeho užívaním a liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Daybu?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Daybu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Daybu sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Daybu sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Daybu

Ďalšie informácie o lieku Daybu vrátane písomnej informácie pre používateľa a hodnotiacej správy sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu.

Ak potrebujete informácie o dostupnosti tohto lieku vo svojej krajine, obráťte sa na [príslušný vnútroštátny orgán](#).