



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

Prehľad o lieku Duvyzat a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Duvyzat a na čo sa používa?

Duvyzat je liek používaný na liečbu osôb vo veku 6 rokov a starších s Duchennovou svalovou dystrofiou, ktorí sú schopní chodiť a už sú liečení kortikosteroidmi. Duchennova svalová dystrofia je genetické ochorenie, ktoré postupne spôsobuje slabosť a stratu svalovej funkcie.

Duchennova svalová dystrofia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Duvyzat 4. júla 2012 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Duvyzat obsahuje liečivo givinostat.

Ako sa liek Duvyzat užíva?

Výdaj lieku Duvyzat je viazaný na lekársky predpis a liek má predpisovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s Duchennovou svalovou dystrofiou.

Liek Duvyzat je dostupný vo forme tekutiny, ktorá sa užíva ústami s jedlom dvakrát denne. Pred začatím liečby liekom Duvyzat sa lekári uistia, že pacienti majú normálnu hladinu krvných doštičiek (krvné doštičky sú zložky, ktoré pomáhajú zrážaniu krvi). Počas liečby sa má pravidelne sledovať hladina krvných doštičiek a triglyceridov a na základe výsledkov môže byť potrebné upraviť dávku lieku Duvyzat. U pacientov, ktorí majú počas liečby hnačku (viac ako 4 stolice denne), môže byť takisto potrebné upraviť dávku lieku Duvyzat.

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

Akým spôsobom liek Duvyzat účinkuje?

Liečivo lieku Duvyzat, givinostat, blokuje aktivitu určitých enzýmov nazývaných histón-deacetylázy (HDAC), ktoré kontrolujú, ako sa čítajú gény a používajú na tvorbu proteínov vrátane tých, ktoré sa podieľajú na oprave svalov.

Predpokladá sa, že dystrofické svalové bunky majú zvýšenú aktivitu HDAC, ktorá znižuje produkciu proteínov, ktoré opravujú svaly, čo vedie k zápalu, zjazveniu a zhrubnutiu a k hromadeniu tuku vo svaloch.

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



Blokovaním aktivity HDAC givinostat pomáha obnoviť produkciu proteínov, ktoré sa podieľajú na oprave svalov, čím znižuje poškodenie svalov a pomáha spomaliť progresiu ochorenia.

Aké prínosy lieku Duvyzat boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii u chlapcov vo veku 6 rokov a starších s Duchennovou svalovou dystrofiou, ktorí boli schopní chodiť a boli liečení kortikosteroidmi, sa preukázalo, že liek Duvyzat spomaľuje pokles schopnosti pacientov chodiť.

V štúdii dostávalo 81 chlapcov liek Duvyzat a 39 chlapcov dostávalo placebo (zdanlivý liek), pričom oba boli podávané spolu s kortikosteroidmi. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena schopnosti pacientov chodiť, meraná časom potrebným na zdolanie 4 schodov.

Po 18 mesiacoch liečby trvalo pacientom užívajúcim liek Duvyzat zdolanie 4 schodov v priemere o 1,25 sekundy dlhšie. U tých, ktorým bolo podávané placebo, sa čas predĺžil viac, v priemere o 3,03 sekundy.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Duvyzat?

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

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Duvyzat (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú hnačka, abdominálna bolesť (bolesť brucha), trombocytopénia (nízka hladina krvných doštičiek), vracanie a hypertriglyceridémia (vysoká hladina triglyceridov, druhu tuku, v krvi).

Prečo bol liek Duvyzat povolený v EÚ?

V čase povolenia lieku boli kortikosteroidy jedinými liekmi používanými na liečbu Duchennovej svalovej dystrofie. Na základe výsledkov štúdie sa očakáva, že liek Duvyzat spomalí progresiu ochorenia, najmä ak sa začne podávať včas. V súvislosti s veľkosťou účinku lieku Duvyzat však existovali nejasnosti, a preto Európska agentúra pre lieky požiadala o vykonanie ďalších štúdií na potvrdenie účinnosti lieku. Vedľajšie účinky lieku Duvyzat boli zvyčajne mierne až stredne závažné a považujú sa za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Duvyzat sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Duvyzat bol povolený tzv. s podmienkou. To znamená, že bol povolený na základe menej komplexných údajov, než sa bežne požaduje, pretože napĺňa dovtedy nenaplnenú liečebnú potrebu. Agentúra sa domnieva, že prínos skoršieho sprístupnenia lieku je väčší ako všetky riziká spojené s jeho používaním, kým sa čaká na ďalšie dôkazy.

Spoločnosť musí poskytnúť ďalšie údaje o lieku Duvyzat. Musí predložiť výsledky z dvoch štúdií na potvrdenie bezpečnosti a účinnosti lieku, a to aj z dlhodobého hľadiska. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie.

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

Na bezpečné a účinné používanie lieku Duvyzat 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 Duvyzat sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Duvyzat sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Duvyzat

Ďalšie informácie o lieku Duvyzat sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/duvyzat.