



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

Pregled zdravila Duvyzat in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Duvyzat in za kaj se uporablja?

Duvyzat je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje oseb, starih šest let in več, z Duchennovo mišično distrofijo, ki lahko hodijo in jih že zdravijo s kortikosteroidi. Duchennova mišična distrofija je genetska bolezen, ki postopoma povzroči šibkost in prenehanje delovanja mišic.

Duchennova mišična distrofija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Duvyzat 4. julija 2012 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Duvyzat vsebuje učinkovino givinostat.

Kako se zdravilo Duvyzat uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Duvyzat je le na recept, predpisati pa ga mora zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z Duchennovo mišično distrofijo.

Zdravilo Duvyzat je na voljo v obliki tekočine za peroralno uporabo skupaj s hrano dvakrat na dan. Pred začetkom zdravljenja z zdravilom Duvyzat zdravniki zagotovijo, da imajo bolniki normalno raven trombocitov (trombociti so sestavine, ki pomagajo pri strjevanju krvi). Med zdravljenjem je treba redno spremljati raven trombocitov in trigliceridov, odmerek zdravila Duvyzat pa bo morda treba glede na rezultate prilagoditi. Pri bolnikih, pri katerih se med zdravljenjem pojavi driska (več kot štirikrat na dan), bo morda treba odmerek zdravila Duvyzat prilagoditi.

Za več informacij glede uporabe zdravila Duvyzat glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Duvyzat deluje?

Učinkovina v zdravilu Duvyzat, givinostat, zavira delovanje določenih encimov, imenovanih histonske deacetilaze (HDAC), ki nadzorujejo tolmačenje in uporabo genov za tvorbo beljakovin, vključno s tistimi, ki sodelujejo pri celjenju mišic.

Domneva se, da imajo distrofične mišične celice povečano aktivnost HDAC, kar zmanjšuje proizvodnjo beljakovin, ki celijo mišice, kar vodi v vnetje, brazgotinjenje in odebelitev ter kopičenje maščobe v mišicah.

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



Givinostat z zaviranjem delovanja HDAC pomaga obnoviti tvorbo beljakovin, ki sodelujejo pri celjenju mišic, zmanjšati poškodbe mišic in upočasniti napredovanje bolezni.

Kakšne koristi zdravila Duvyzat so se pokazale v študijah?

V glavni študiji pri dečkih z Duchennovo mišično distrofijo, starih šest let in več, ki so lahko hodili in so jih zdravili s kortikosteroidi, se je izkazalo, da zdravilo Duvyzat upočasnjuje zmanjševanje bolnikove sposobnosti hoje.

V študiji je 81 fantov poleg kortikosteroidov prejelo zdravilo Duvyzat, 39 pa placebo (zdravilo brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba bolnikove sposobnosti hoje, izmerjena s časom, potrebnim za vzpon po štirih stopnicah.

Po 18 mesecih zdravljenja so bolniki, ki so jemali zdravilo Duvyzat, za vzpon po štirih stopnicah potrebovali povprečno 1,25 sekunde dlje od normalnega. Pri bolnikih, ki so prejeli placebo, je prišlo do večjega povečanja, saj so v povprečju potrebovali 3,03 sekunde dlje.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Duvyzat?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Duvyzat glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Duvyzat (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so driska, bolečine v trebuhu, trombocitopenija (nizke ravni trombocitov v krvi), bruhanje in hipertrigliceridemija (visoke ravni trigliceridov, vrste maščobe).

Zakaj je bilo zdravilo Duvyzat odobreno v EU?

V času izdaje dovoljenja za promet so bili kortikosteroidi edino zdravilo, ki se je uporabljalo za zdravljenje Duchennove mišične distrofije. Glede na rezultate študije naj bi zdravilo Duvyzat upočasnilo napredovanje bolezni, zlasti če se začne uporabljati zgodaj. Vendar pa obstajajo negotovosti glede obsega njegovega učinka, zato je Evropska agencija za zdravila zahtevala izvedbo nadaljnjih študij za potrditev njegove učinkovitosti. Neželeni učinki zdravila Duvyzat so bili večinoma blagi do zmerni in obvladljivi. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Duvyzat večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Duvyzat je pridobilo pogojno dovoljenje za promet. To pomeni, da je bilo odobreno na podlagi manj izčrpnih podatkov, kot je običajno potrebno, ker izpolnjuje neizpolnjeno zdravstveno potrebo. Agencija meni, da koristi zgodnejše razpoložljivosti zdravila odtehtajo vsa tveganja, povezana z njegovo uporabo, medtem ko se pričakujejo dodatni dokazi.

Podjetje mora predložiti dodatne podatke o zdravilu Duvyzat. Predložiti mora rezultate dveh študij za potrditev varnosti in učinkovitosti zdravila, tudi dolgoročno. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Duvyzat?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Duvyzat upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Duvyzat stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Duvyzat , se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Duvyzat

Nadaljnje informacije za zdravilo Duvyzat so na voljo na spletni strani agencije:

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