



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Duvyzat (*givinostat*)

Sammanfattning av Duvyzat och varför det är godkänt inom EU

Vad är Duvyzat och vad används det för?

Duvyzat är ett läkemedel som används för att behandla personer från 6 års ålder med Duchennes muskeldystrofi som kan gå och redan behandlas med kortikosteroider. Duchennes muskeldystrofi är en genetisk sjukdom som leder till en gradvis ökande svaghet och förlorad muskelfunktion.

Duchennes muskeldystrofi är sällsynt och Duvyzat klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 4 juli 2012. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Duvyzat innehåller den aktiva substansen givinostat.

Hur används Duvyzat?

Duvyzat är receptbelagt och ska förskrivas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med Duchennes muskeldystrofi.

Duvyzat finns som en vätska som ska tas genom munnen tillsammans med mat två gånger om dagen. Innan behandlingen med Duvyzat inleds kommer läkarna se till att patienterna har normala trombocytnivåer (trombocyter är komponenter som hjälper blodet att koagulera). Under behandlingen ska nivåerna av trombocyter och triglycerider övervakas regelbundet och dosen av Duvyzat kan behöva justeras baserat på resultaten. Dosen av Duvyzat kan även behöva justeras hos patienter som får diarré (fler än fyra tarmtömningar per dag) under behandlingen.

För mer information om hur du använder Duvyzat, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Duvyzat?

Den aktiva substansen i Duvyzat, givinostat, blockerar aktiviteten hos vissa enzymer, nämligen histondeacetylaser (HDAC), som kontrollerar hur gener läses av och används för att producera proteiner, inklusive de som medverkar i muskelreparationen.

Det antas att dystrofiska muskelceller har ökad HDAC-aktivitet, vilket minskar produktionen av proteiner som reparerar muskler, vilket leder till inflammation, ärrbildning och förtjockning, samt ansamling av fett i musklerna.

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



Genom att blockera HDAC-aktiviteten bidrar givinostat till att återställa produktionen av proteiner som medverkar i muskelreparationen, vilket minskar muskelskadan och hjälper till att sakta ner sjukdomens utveckling.

Vilka fördelar med Duvyzat har visats i studierna?

I en huvudstudie på pojkar i åldern 6 år eller äldre med Duchennes muskeldystrofi som kunde gå och behandlades med kortikosteroider visade sig Duvyzat sakta ner försämringen av patienternas gångförmåga.

I studien fick 81 pojkar Duvyzat och 39 placebo (overksam behandling), båda som tillägg till kortikosteroider. Huvudeffektmåttet var förändringen av patienternas gångförmåga, uppmätt som den tid som krävdes för att gå uppför fyra trappsteg.

Efter 18 månaders behandling tog det i genomsnitt 1,25 sekunder längre tid för patienterna som tog Duvyzat att gå uppför fyra trappsteg. Ökningen var större hos dem som fick placebo, för vilka det i genomsnitt tog 3,03 sekunder längre.

Vilka är riskerna med Duvyzat?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Duvyzat finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Duvyzat (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är diarré, buksmärta, trombocytopeni (lågt antal blodplättar), kräkningar och hypertriglyceridemi (höga blodnivåer av triglycerider, en typ av fett).

Varför är Duvyzat godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet var kortikosteroider de enda använda läkemedlen för att behandla Duchennes muskeldystrofi. På grundval av studieresultaten förväntas Duvyzat fördröja sjukdomsförloppet, särskilt när behandlingen inleds tidigt. Det rådde dock osäkerhet kring omfattningen av Duvyzats effekt och Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) begärde därför att ytterligare studier skulle genomföras för att bekräfta läkemedlets effektivitet. Biverkningarna av Duvyzat var oftast lindriga till måttliga och ansågs hanterbara. EMA fann därför att fördelarna med Duvyzat är större än riskerna och att Duvyzat kan godkännas för försäljning i EU.

Duvyzat har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att det har beviljats på grundval av mindre omfattande data än vad som normalt krävs, eftersom det tillgodoser ett ouppfyllt medicinskt behov. EMA anser att fördelarna med att ha läkemedlet tillgängligt tidigare uppväger riskerna vid användning av det i väntan på ytterligare belägg.

Företaget måste lämna in ytterligare uppgifter om Duvyzat. Företaget måste lämna in resultat från två studier för att bekräfta läkemedlets säkerhet och effekt, även på lång sikt. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Duvyzat?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Duvyzat har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Duvyzat kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Duvyzat utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Duvyzat

Mer information om Duvyzat finns på EMA:s webbplats:

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