

Notícia de Impacto
Expediente 1229907/25-3

Nome do produto	DUVYZAT® (givinostate)
Empresa	MULTICARE PHARMACEUTICALS LTDA
Assunto	Registro de medicamento novo (novo IFA) – via de desenvolvimento completo
Indicação	Duvyzat é indicado para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne (DMD) em pacientes com idade igual ou superior a 6 anos, em tratamento concomitante com corticosteroides.
Publicação no DOU	13/08/2026
Mais informações	A Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) é uma doença genética rara e grave que afeta principalmente meninos, manifestando-se na primeira infância. O corpo não consegue produzir uma proteína essencial chamada distrofina, que atua como um "amortecedor" ou "escudo" dentro das células musculares. Sem essa proteína, as fibras musculares se tornam frágeis e se rompem facilmente a cada movimento. Com o tempo, o músculo danificado perde a capacidade de se regenerar. Ele é progressivamente substituído por tecido gorduroso e fibroso (cicatricial), o que leva à perda gradual da força muscular. Os primeiros sinais costumam aparecer entre os 2 e 5 anos de idade (dificuldade para correr, pular ou levantar do chão). A maioria dos pacientes perde a capacidade de andar por volta dos 12 anos de idade. Com o avanço da doença, os músculos respiratórios e cardíacos também são afetados, reduzindo significativamente a expectativa de vida, que geralmente não ultrapassa os 30 anos. Em pacientes com DMD, a falta da proteína distrofina desencadeia uma série de eventos prejudiciais nos músculos. Um desses eventos é o aumento da atividade de enzimas chamadas histona desacetilases (HDACs). A atividade excessiva dessas enzimas funciona como um "interruptor" que desliga genes importantes para a reparação e regeneração muscular. Consequentemente, o músculo perde a capacidade de se recuperar, resultando em inflamação crônica, formação de fibrose (tecido cicatricial) e acúmulo de gordura, que substituem progressivamente o tecido muscular saudável. DUVYZAT® (givinostate) age justamente inibindo a enzima histona desacetilase (HDAC). Um ponto importante é que, por atuar em eventos que ocorrem a jusante da causa genética da DMD, este medicamento pode beneficiar pacientes portadores de qualquer tipo de mutação no gene da distrofina. A DMD tem um altíssimo impacto social e econômico. A dependência total para atividades diárias, a necessidade de equipamentos especializados (cadeiras de rodas,

ventiladores mecânicos) e o acompanhamento multiprofissional contínuo representam um fardo pesado para as famílias e para os sistemas de saúde.

Destaca-se que, atualmente, não há nenhuma outra opção terapêutica específica aprovada para DMD no Brasil. O tratamento com corticoides é a principal intervenção medicamentosa disponível para a preservação da força muscular.

Por ser um medicamento novo, ainda existem incertezas reconhecidas acerca do uso do DUVYZAT® (givinostate) na DMD, especialmente a respeito da eficácia clínica de longo prazo, uma vez que o medicamento foi testado em estudos clínicos, mas a realidade dos pacientes pode trazer novas informações. Em razão disso, para aprovação do DUVYZAT® (givinostate) foi firmado um Termo de Compromisso entre a Anvisa e a Empresa MULTICARE PHARMACEUTICALS LTDA. No caso específico do givinostate, que é o primeiro medicamento da sua classe aprovado para DMD e chega em um momento em que não há outras opções no Brasil, esse compromisso ganha ainda mais relevância, permitindo que os pacientes tenham acesso ao tratamento enquanto novos estudos continuam gerando evidências sobre seus benefícios e riscos.

O que é o givinostate?

Givinostate é um inibidor da enzima histona desacetilase (HDAC). Ao bloquear essa enzima, o medicamento "religa" os genes necessários para a reparação e o crescimento muscular.

O DUVYZAT® (givinostate) não é um tratamento curativo, mas sim uma terapia modificadora da doença, ou seja, ele retarda a progressão da DMD, atuando diretamente em mecanismos que levam à deterioração muscular.

Para que DUVYZAT® é indicado?

DUVYZAT® (givinostate) é aprovado para tratar Distrofia Muscular de Duchenne em pacientes com 6 anos ou mais, juntamente com uso de corticoides.

Quais os benefícios que DUVYZAT® demonstrou nos estudos clínicos?

Os estudos clínicos que embasaram a aprovação do DUVYZAT® (givinostate) demonstraram que o medicamento é capaz de retardar a progressão da doença.

O principal benefício funcional observado foi a desaceleração da perda de capacidade motora medida pelo tempo para subir quatro degraus (4SC) preservando a função muscular. Em uma escala que mede o tempo para subir quatro degraus, os pacientes que usaram o medicamento apresentaram uma perda de função significativamente menor em comparação com aqueles que usaram apenas o tratamento padrão.

Além disso, o medicamento também ajudou a preservar a massa muscular, reduzindo o acúmulo de gordura nos músculos, o que indica uma menor degeneração do tecido muscular ao longo do tempo. Embora os resultados em alguns outros testes funcionais não tenham atingido significância estatística formal,

os dados apontaram na direção de benefícios para os pacientes tratados com DUVYZAT® (givinostate).

Quais os principais riscos associados a DUVYZAT®?

Como todo medicamento, o DUVYZAT® (givinostate) pode causar eventos adversos, sendo os mais comuns a diarreia, a dor abdominal, a queda no número de plaquetas no sangue, o aumento dos triglicerídeos, enjoos, vômitos e febre.

A queda das plaquetas merece atenção especial, pois pode aumentar o risco de sangramentos e hematomas, por isso o médico solicitará exames de sangue regularmente para monitorar esses valores e, se necessário, ajustar a dose ou até suspender o tratamento temporariamente.

Diarreia e vômitos também são frequentes, principalmente no início do uso, e podem exigir medicamentos para alívio e cuidados com a hidratação.

O tratamento com givinostate deve ser interrompido se os níveis de triglicerídeos permanecerem elevados, apesar da intervenção dietética adequada e do ajuste da dose.

Quanto às contraindicações, o DUVYZAT® (givinostate) não deve ser usado por pacientes que tenham alergia comprovada ao givinostate ou a qualquer outro componente da fórmula; além disso, o medicamento não é recomendado para gestantes ou mulheres que estejam amamentando, pois os estudos em animais mostraram riscos para o desenvolvimento fetal. No mais, não há contraindicações absolutas, mas o médico avaliará cuidadosamente cada caso, especialmente em pacientes com problemas cardíacos, pois o medicamento pode alterar o ritmo do coração (prolongamento do intervalo QT).

Como DUVYZAT® deve ser usado?

DUVYZAT® (givinostate) é um medicamento líquido (suspensão oral) que deve ser tomado por via oral, duas vezes ao dia. A quantidade exata a ser ingerida em cada dose depende do peso corporal do paciente, e o médico será responsável por calcular e prescrever a medida correta. O frasco vem com uma seringa dosadora graduada que facilita a retirada da quantidade certa do remédio. Antes de usar, é importante agitar bem o frasco, virando-o de cabeça para baixo por pelo menos 30 segundos, até que o líquido fique totalmente homogêneo. O medicamento não deve ser misturado com água ou outros líquidos e deve ser tomado puro, colocando a seringa dentro da boca, contra a bochecha, e despejando lentamente o conteúdo. Caso o paciente se esqueça de uma dose, não se deve dobrar a próxima; basta pular a dose perdida e continuar o esquema normal no horário seguinte. O tratamento deve ser seguido rigorosamente conforme a orientação médica, e a dose pode ser ajustada ou até interrompida pelo médico caso ocorram efeitos colaterais como queda das plaquetas, diarreia intensa ou aumento dos triglicerídeos.

DUVYZAT® já está disponível no mercado?

Embora o registro de DUVYZAT[®] já tenha sido concedido pela Anvisa, o medicamento estará apto para comercialização após a aprovação do preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Porém, a decisão de quando o medicamento será comercializado é da empresa detentora do registro.

A disponibilização do medicamento no Sistema Único de Saúde (SUS) é condicionada à avaliação e recomendação de incorporação pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC) e aprovação pelo Ministério da Saúde. Nem todo medicamento registrado na Anvisa é objeto de avaliação pela CONITEC e incorporação ao SUS.