



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de givinostat (Duvyzat®) para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes ambulatorios a partir de 6 años de edad y con tratamiento concomitante de corticoesteroides.

Fecha de publicación: 26 de marzo de 2026

¿Qué es givinostat y para qué se utiliza?

Duvyzat® es un medicamento cuyo principio activo es givinostat que se utiliza para tratar la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes a partir de 6 años de edad que pueden caminar (denominados ambulatorios) y que ya están recibiendo tratamiento con corticosteroides.

La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética que causa gradualmente debilidad y pérdida de la función muscular. La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad rara. El manejo terapéutico se basa fundamentalmente en un abordaje multidisciplinar de soporte y en el uso de glucocorticoides sistémicos, como prednisona o deflazacort, que constituyen el estándar de tratamiento en la práctica clínica.

En la Unión Europea, el titular de la autorización de comercialización es ITALFARMACO S.A., siendo también el laboratorio ofertante en España.

¿Cómo funciona givinostat?

El principio activo de Duvyzat®, el givinostat, bloquea la actividad de determinadas enzimas denominadas histona deacetilasas (HDAC), que controlan la lectura y el uso de los genes para producir proteínas, incluidas las que intervienen en la reparación muscular.

Se cree que las células musculares distróficas presentan un aumento de la actividad de las HDAC, lo que reduce la producción de proteínas reparadoras de los músculos, dando lugar a inflamación, cicatrización, engrosamiento y acumulación de grasa en los músculos. Al bloquear la actividad de las HDAC, el givinostat ayuda a restablecer la producción de las proteínas que participan en la reparación muscular, reduciendo el daño muscular y ayudando a ralentizar la progresión de la enfermedad.

Duvyzat® se presenta en forma de solución para administración oral, que debe tomarse con alimentos dos veces al día. Antes y durante el tratamiento, se deben controlar periódicamente los niveles de plaquetas y triglicéridos, y puede ser necesario ajustar la dosis de givinostat en función de los resultados. En los pacientes que presenten diarrea (más de 4 deposiciones al día) durante el tratamiento, también puede ser necesario ajustar la dosis de Duvyzat®.

Información básica sobre la autorización

Duvyzat® fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 4 de julio de 2012.

Duvyzat® (givinostat) recibió una autorización condicional por parte de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) el 6 de junio de 2025 para el tratamiento de la DMD en pacientes ambulatorios a partir de 6 años de edad y con tratamiento concomitante de corticosteroides¹.

Esto significa que ha sido autorizado sobre la base de datos menos exhaustivos que los requeridos normalmente porque satisface una necesidad médica no cubierta. La Agencia considera que el beneficio de disponer antes de este medicamento supera los riesgos asociados al uso del medicamento mientras se esperan más pruebas.

La compañía titular de Duvyzat® deberá proporcionar más datos sobre este medicamento. Deberá presentar los resultados de dos estudios para confirmar la seguridad y la eficacia del medicamento, incluso a largo plazo. La Agencia revisará anualmente la información más reciente de que se disponga.

Conclusiones de la evaluación comparada de Duvyzat®

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha publicado a fecha del 10 de marzo de 2026 el Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de Duvyzat®².

La evidencia principal de eficacia que sustenta la autorización de givinostat procede del ensayo clínico pivotal de fase 3 EPIDYS, un estudio multicéntrico, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo, con una duración de 18 meses, realizado en pacientes ambulatorios a partir de los 6 años de edad en tratamiento concomitante estable con corticosteroides.

El criterio de valoración primario del estudio EPIDYS fue el cambio desde el valor basal en el tiempo necesario para subir cuatro escalones (4SC) tras 18 meses de tratamiento. En el análisis primario se observó una diferencia estadísticamente significativa a favor de givinostat frente a placebo que se traduce en un menor empeoramiento funcional relativo en el grupo tratado, estimado en torno al 14%.

Los resultados observados en variables funcionales adicionales deben interpretarse con cautela y considerarse de carácter exploratorio. Asimismo, la interpretación de la eficacia de givinostat se ve condicionada por limitaciones metodológicas relevantes que dificultan la interpretación clínica de la magnitud del efecto. Los efectos a largo plazo, aunque sugieren un posible retraso en hitos funcionales como pérdida de deambulación, también tienen limitaciones metodológicas que obligan a interpretarlos con cautela.

Desde el punto de vista de la seguridad, givinostat se asoció a una elevada frecuencia de efectos adversos, destacando trastornos gastrointestinales y alteraciones en la sangre (plaquetas y triglicéridos).

En conjunto, la evidencia disponible sugiere la existencia de un efecto favorable de givinostat sobre la progresión funcional en pacientes ambulatorios con DMD, en el contexto de una elevada necesidad médica no cubierta. No obstante, persisten incertidumbres relevantes en relación con la robustez estadística de la demostración de eficacia y con la confirmación de un impacto modificador de la enfermedad a largo plazo.

Por lo tanto, givinostat podría considerarse una opción terapéutica adicional en combinación con el tratamiento estándar con corticosteroides en pacientes ambulatorios a partir de los 6 años de edad con DMD, siempre que se garantice una selección adecuada de pacientes y una

¹ Puede consultar la información en el siguiente enlace:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/duvyzat>

² Puede consultar la información en el siguiente enlace:

<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2026/IPT-435-Duvyzat-givinostat.pdf>

monitorización estrecha de la eficacia y la seguridad, quedando su posicionamiento definitivo condicionado a la generación de datos adicionales que permitan confirmar el beneficio clínico observado a largo plazo.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos reunida en sesión de 22 de octubre de 2025 acordó con respecto a este medicamento, proponer a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia su inclusión en la prestación farmacéutica del SNS y su financiación para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes ambulatorios a partir de 6 años de edad y con tratamiento concomitante de corticoesteroides.

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

Su financiación requiere el cumplimiento de las siguientes condiciones:

- El diagnóstico debe estar confirmado mediante prueba genética.
- El paciente debe estar con una dosis estable de corticoesteroides antes del inicio de la administración de givinostat, habiendo estado al menos 6 meses con corticoides.
- El paciente NO ambulatorio no puede iniciar tratamiento con givinostat.
Nota: esta indicación se evaluará cuando se autorice, si procede, por la Agencia Europea del Medicamento (EMA).
- El tratamiento debe seguir las recomendaciones establecidas en la Ficha Técnica para gestionar los posibles efectos adversos, incluida la reducción de la dosis.

Se establecen para este medicamento reservas singulares en el ámbito del Sistema Nacional de Salud, consistentes en limitar su dispensación, a los pacientes no hospitalizados en los Servicios de Farmacia de los Hospitales.

Este medicamento se financia con el establecimiento de un techo máximo de gasto (TMG) y, adicionalmente, un coste máximo por paciente. Debido a la incertidumbre de pacientes, en caso de no alcanzar la cifra fijada de TMG, pero sí el 90% de dicha cifra, se realizará una bajada ya preestablecida. En caso de extensión de línea en ficha técnica, que expandiría el uso de givinostat a pacientes menores de 6 años, esta nueva extensión no modificaría el techo de gasto existente.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

<https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do>

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado “Más información” aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.