



Behandlung mit Givinostat bei gehfähigen Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie

Seit Juni 2025 hat die Europäische Arzneimittelkommission (EMA) Givinostat zur Behandlung von gehfähigen Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) zugelassen.

Givinostat ist ein aktives Hydroxyaminosäure-Derivat, das die Zytokinproduktion und Entzündungsreaktionen nach einer Muskelfaserschädigung hemmt, den fibrotischen Umbau reduziert und die Regeneration der Muskelfasern fördert.

Das Medikament wird zweimal täglich in einer gewichtsadaptierten Dosis oral eingenommen. In einer klinischen Studie zeigte sich ein signifikanter Vorteil gegenüber der Placebo-Kontrollgruppe.

Die EMA hat zunächst eine bedingte Zulassung erteilt und die Durchführung weiterer Studien gefordert.

Zulassungskriterien:

- Diagnose DMD genetisch gesichert
- Alter: mindestens 6 Jahre
- Patient ist frei gehfähig
- Bestehende Corticosteroid-Behandlung

Mögliche Gegenanzeigen:

- Thrombozyten <150 G/l
- Triglyzeride >300 mg/dl
- erhöhtes Risiko für Herzrhythmusstörungen, Kardiomyopathie, EF <45%
- Sorbitolunverträglichkeit oder Fruktose-Intoleranz oder Allergie

Risiken/Nebenwirkungen:

Sehr häufig (>10%): Thrombozytopenie*, Durchfall*, Triglyzeridämie*, Erbrechen, Fieber, Gelenkschmerzen

Häufig (5-10%): Hypothreose, Obstipation, Müdigkeit, verminderter Appetit, Hautausschlag

*) ggf. Anpassung der Dosis

Ablauf: Vor und während der Therapie folgende Untersuchungen zwingend erforderlich.

Vor Einschluss:

- **Aktuelles Labor:** Blutbild (mit Thrombozyten), Elektrolyte, Leber- und Nierenwerte, Schilddrüsenwerte und Triglyzeride (nüchtern)
- **EKG** bei Patienten mit kardialen Erkrankungen oder Begleitmedikation, die eine QT-Verlängerung verursacht

Verlaufskontrollen:

- **In den ersten beiden Monaten der Behandlung alle 2 Wochen, danach alle 3 Monate:**
- Blutbild (mit Thrombozyten)
- **Initial nach 3 Monaten und dann alle 6 Monate**
- Triglyzeride (nüchtern)

Dosisanpassung:

- Bei folgenden Konstellationen ist eine **Dosisanpassung** durch das Muskelzentrum erforderlich:
- Thrombozytopenie (<150 tsd.)
oder
- Durchfall (>4x Stuhlgang/Tag)
oder
- Hypertriglyceridämie (Triglyzeride >300 mg/dl)

Versionsverwaltung

Version	Gültigkeitsdatum	Beschreibung der Änderung	Autor
V1.0	19.09.2025	Ersterstellung	N. Jung / J. Kirschner