



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/351469/2022
EMA/H/C/005271

Zokinvy (*lonafarnib*)

Общ преглед на Zokinvy и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Zokinvy и за какво се използва?

Zokinvy е лекарство, което се използва за лечение на пациенти на възраст 12 месеца и повече, които са засегнати от следните редки заболявания, при които се появяват симптоми, наподобяващи остаряване, в детството:

- синдром на прогерия на Hutchinson-Gilford;
- прогероидни ламинопатии с дефекти на преработването.

Заболяванията, за чието лечение се използва Zokinvy, се считат за редки и Zokinvy е определен като „лекарство сирак“ на [14 декември 2018 г.](#) за синдрома на прогерия на Hutchinson-Gilford.

Zokinvy съдържа активното вещество лонафарниб (*lonafarnib*).

Как се използва Zokinvy?

Zokinvy се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да започне от лекари с опит в лечението на пациенти с преждевременно остаряване или редки метаболитни състояния.

Zokinvy се предлага под формата на капсули, които се приемат с храна два пъти дневно. Началната дневна доза (която варира от 75 до 225 mg) зависи от ръста и теглото на пациента. След 4 месеца лечение пациентът може да започне да приема по-висока (поддържаща) доза.

За повече информация относно употребата на Zokinvy вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Zokinvy?

Пациентите със синдром на прогерия на Hutchinson-Gilford и с прогероидни ламинопатии с дефекти на преработването имат натрупване на абнормни форми на прогерин или прогеринови протеини, което причинява увреждане на клетките и води до симптоми на остаряване в началото на живота. Zokinvy предотвратява химична реакция, свързана с образуването на тези абнормни протеини, и по този начин помага за подобряване на симптомите на заболяванията.



Какви ползи от Zokinvy са установени в проучванията?

В две основни проучвания е показано, че Zokinvy удължава живота на пациентите със синдром на прогерия на Hutchinson-Gilford и с прогероидни ламинопатии с дефекти на преработването. Проучванията обхващат 62 пациенти, които приемат Zokinvy. Три години след началото на самостоятелно лечение със Zokinvy пациентите живеят между 2,5 месеца и около половин година по-дълго от 62 пациенти, които не участват в проучванията и не получават Zokinvy. Към момента на последното проследяване (около 11 години след началото на лечението) пациентите, получаващи Zokinvy (и вероятно допълнителни лечения), живеят средно 4,3 години по-дълго от нелекуваните пациенти. Въпреки това, предвид ограничените налични данни, преживяемостта в следващите години може да достигне 2,6 години.

Какви са рисковете, свързани със Zokinvy?

Най-честите нежелани реакции при Zokinvy (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са повръщане, диария, повишени нива на чернодробните ензими, намален апетит, гадене, болка в корема, умора, загуба на тегло, запек и инфекции на горните дихателни пътища (инфекции на носа и гърлото).

Най-честите сериозни нежелани реакции при Zokinvy (които може да засегнат не повече от 1 на 10 души) са повишени нива на чернодробните ензими, церебрална исхемия (намалено кръвоснабдяване на мозъка), повишена температура и дехидратация.

Защо Zokinvy е разрешен за употреба в ЕС?

Към момента на разрешаването за употреба на Zokinvy няма други лекарства за лечение на синдрома на прогерия на Hutchinson-Gilford и на прогероидни ламинопатии с дефекти на преработването. Резултатите от проучванията при Zokinvy показват, че това лекарство може да удължи живота на пациентите с тези заболявания. Най-честите нежелани реакции, като диария, гадене и повръщане, настъпват главно през първите 4 месеца от лечението и могат да се овладеят.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Zokinvy са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Zokinvy поради рядкото разпространение на заболяването.

Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Zokinvy?

Тъй като Zokinvy е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“, фирмата, която предлага Zokinvy, ще предостави данни от регистър на пациентите, лекувани с лекарството, за да оцени допълнително безопасността и ефективността на Zokinvy, както и качеството на живот на пациентите.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Zokinvy?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Zokinvy, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Zokinvy непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Zokinvy, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Zokinvy:

Допълнителна информация за Zokinvy можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy