



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnibum*)

Přehled pro přípravek Zokinvy a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Zokinvy a k čemu se používá?

Zokinvy je léčivý přípravek, který se používá k léčbě pacientů ve věku od 12 měsíců s těmito vzácnými onemocněními, při nichž se v dětství objevují příznaky připomínající stárnutí:

- Hutchinsonův-Gilfordův progerický syndrom,
- progeroidní laminopatie s deficitem zpracování.

Onemocnění, k jejichž léčbě se přípravek Zokinvy používá, jsou vzácná onemocnění. Přípravek Zokinvy byl označen dne [14. prosince 2018](#) jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“, a to v souvislosti s Hutchinsonovým-Gilfordovým progerickým syndromem.

Přípravek Zokinvy obsahuje léčivou látku lonafarnib.

Jak se přípravek Zokinvy používá?

Výdej přípravku Zokinvy je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit lékař, který má zkušenosti s léčbou pacientů s příznaky předčasného stárnutí nebo se vzácnými metabolickými onemocněními.

Přípravek Zokinvy je dostupný ve formě tobolek, které se užívají s jídlem dvakrát denně. Počáteční denní dávka (v rozmezí od 75 do 225 mg) závisí na výšce a tělesné hmotnosti pacienta. Po čtyřech měsících léčby může pacient začít užívat vyšší (udržovací) dávku.

Více informací o používání přípravku Zokinvy naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Zokinvy působí?

U pacientů s Hutchinsonovým-Gilfordovým progerickým syndromem a progeroidní laminopatií s deficitem zpracování se hromadí abnormální formy progerinových a progerinu podobných bílkovin, které způsobují poškození buněk a vedou k příznakům stárnutí v rané fázi života. Přípravek Zokinvy zabraňuje chemické reakci, která se podílí na tvorbě těchto abnormálních bílkovin, čímž pomáhá zmírňovat příznaky onemocnění.



Jaké přínosy přípravku Zokinvy byly prokázány v průběhu studií?

Dvě hlavní studie prokázaly, že přípravek Zokinvy prodlužuje život pacientů s Hutchinsonovým-Gilfordovým progerickým syndromem či progeroidní laminopatií s deficitem zpracování. Do těchto studií bylo zařazeno 62 pacientů, kterým byl podáván přípravek Zokinvy. Tři roky po zahájení léčby pouze přípravkem Zokinvy žili tito pacienti o 2,5 měsíce až přibližně o půl roku déle než 62 pacientů, kteří se studií neúčastnili a přípravek Zokinvy jim nebyl podáván. V době posledního sledování (přibližně 11 let po zahájení léčby) žili pacienti, kterým byl podáván přípravek Zokinvy (a případně další přípravky), v průměru o 4,3 roku déle než neléčení pacienti. Vzhledem k omezenému množství dostupných údajů je však možné, že přípravek Zokinvy prodlužuje život pouze o 2,6 roku.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Zokinvy?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Zokinvy (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou zvracení, průjem, zvýšené hladiny jaterních enzymů, snížená chuť k jídlu, nauzea (pocit na zvracení), bolest břicha, únava, úbytek tělesné hmotnosti, zácpa a infekce horních cest dýchacích (infekce nosu a hrdla).

Nejčastějšími závažnými nežádoucími účinky přípravku Zokinvy (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou zvýšené hladiny jaterních enzymů, cerebrální ischemie (nedokrvování mozku), horečka a dehydratace.

Na základě čeho byl přípravek Zokinvy registrován v EU?

V době registrace přípravku Zokinvy nebyly k dispozici žádné jiné léčivé přípravky k léčbě Hutchinsonova-Gilfordova progerického syndromu a progeroidní laminopatie s deficitem zpracování. Z výsledků studií přípravku Zokinvy vyplynulo, že může prodloužit život pacientů s těmito onemocněními. Nejčastější nežádoucí účinky, jako je průjem, nauzea a zvracení, se vyskytly zejména v prvních čtyřech měsících léčby a byly zvladatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Zokinvy převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU za „výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze těchto onemocnění nebylo možné o přípravku Zokinvy získat úplné informace.

Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Zokinvy nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Zokinvy byl registrován za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Zokinvy dodává na trh, předloží údaje z registru pacientů léčených tímto přípravkem, aby bylo možné dále vyhodnotit jeho bezpečnost a účinnost i kvalitu života pacientů.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Zokinvy?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Zokinvy, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Zokinvy průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Zokinvy jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Zokinvy

Další informace o přípravku Zokinvy jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy.