



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnib*)

En oversigt over Zokinvy, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Zokinvy, og hvad anvendes det til?

Zokinvy er et lægemiddel til behandling af patienter på 12 måneder og derover, som er ramt af følgende sjældne sygdomme, hvor der i barndommen ses kendetegn, der minder om aldring:

- Hutchinson-Gilford progeria-syndrom
- ikke-normalt udviklende progeroide laminopatier.

De sygdomme, som Zokinvy anvendes til behandling af, er sjældne, og Zokinvy blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den [14. december 2018](#) for Hutchinson-Gilford progeria-syndrom.

Zokinvy indeholder det aktive stof lonafarnib.

Hvordan anvendes Zokinvy?

Zokinvy fås kun på recept, og behandling bør indledes af læger med erfaring inden for behandling af patienter med for tidlig aldring eller sjældne stofskiftesygdomme.

Zokinvy leveres som kapsler, der tages sammen med et måltid to gange dagligt. Den daglige initialdosis (75-225 mg) afhænger af patientens højde og vægt. Efter 4 måneders behandling kan patienten begynde at tage en højere (vedligeholdelses)dosis.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Zokinvy, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Zokinvy?

Patienter med Hutchinson-Gilford progeria-syndrom og med ikke-normalt udviklende progeroide laminopatier oplever en ophobning af abnorme former af progerin- eller progerinlignende proteiner, som beskadiger cellerne og giver symptomer på tidlig aldring. Zokinvy forebygger en kemisk reaktion, der medvirker ved dannelsen af disse abnorme proteiner, og hjælper således med at forbedre symptomerne på sygdommene.



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Zokinvy?

To hovedstudier har vist, at Zokinvy forlænger levetiden for patienter med Hutchinson-Gilford progeria-syndrom og med ikke-normalt udviklende progeroide laminopatier. Studierne omfattede 62 patienter, der modtog Zokinvy. Tre år efter indledning af behandling med Zokinvy alene levede patienterne mellem 2,5 måneder og ca. et halvt år længere end de 62 patienter, der ikke deltog i studierne og ikke fik Zokinvy. På tidspunktet for den seneste opfølgning (ca. 11 år efter behandlingsstart) levede de patienter, der fik Zokinvy (og eventuelt yderligere behandlinger), gennemsnitligt 4,3 år længere end ubehandlede patienter. På grund af de begrænsede foreliggende data kan den ekstra levetid imidlertid være helt nede på 2,6 år.

Hvilke risici er der forbundet med Zokinvy?

De hyppigste bivirkninger ved Zokinvy (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er opkastning, diarré, forhøjede leverenzymtal, nedsat appetit, kvalme, mavesmerter, træthed, vægttab, forstoppelse og infektioner i de øvre luftveje (næse og hals).

De hyppigste alvorlige bivirkninger ved Zokinvy (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er forhøjede leverenzymtal, cerebral iskæmi (nedsat blodforsyning til hjernen), feber og dehydrering.

Hvorfor er Zokinvy godkendt i EU?

På tidspunktet for godkendelsen af Zokinvy var der ingen andre lægemidler til behandling af Hutchinson-Gilford progeria-syndrom og ikke-normalt udviklende progeroide laminopatier. Resultaterne fra studierne af Zokinvy viste, at dette lægemiddel kan forlænge levetiden for patienter med disse sygdomme. De hyppigste bivirkninger såsom diarré, kvalme og opkastning forekom hovedsagelig i de første 4 måneder af behandlingen og kunne behandles.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Zokinvy opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Zokinvy.

Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Zokinvy?

Da Zokinvy er blevet godkendt under særlige omstændigheder, vil den virksomhed, der markedsfører Zokinvy, fremlægge data fra et register over patienter behandlet med lægemidlet for yderligere at vurdere Zokinvs sikkerhed og effektivitet samt patienternes livskvalitet.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Zokinvy?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Zokinvy.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Zokinvy løbende overvåget. Formodede bivirkninger ved Zokinvy vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Zokinvy

Yderligere information om Zokinvy findes på agenturets websted under:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy