



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*Lonafarnib*)

Übersicht über Zokinvy und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Zokinvy und wofür wird es angewendet?

Zokinvy ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung von Patienten ab 12 Monaten angewendet wird, die an den folgenden seltenen Krankheiten leiden, bei denen altersähnliche Merkmale im Kindesalter auftreten:

- Hutchinson-Gilford-Progeria-Syndrom
- progeroide Laminopathien mit Verarbeitungsfehler

Die Krankheiten, zu deren Behandlung Zokinvy angewendet wird, sind „selten“, und Zokinvy wurde am [14. Dezember 2018](#) als Arzneimittel für seltene Leiden für das Hutchinson-Gilford-Progeria-Syndrom ausgewiesen.

Zokinvy enthält den Wirkstoff Lonafarnib.

Wie wird Zokinvy angewendet?

Zokinvy ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem Arzt eingeleitet werden, der Erfahrung in der Behandlung von Patienten mit vorzeitigen Alterungserscheinungen oder seltenen Stoffwechselerkrankungen besitzt.

Zokinvy ist als Kapseln erhältlich, die zweimal täglich zu einer Mahlzeit eingenommen werden. Die Anfangsdosis (die zwischen 75 mg und 225 mg beträgt) hängt von Körpergröße und -gewicht des Patienten ab. Nach 4-monatiger Behandlung kann der Patient mit der Einnahme einer höheren (Erhaltungs-)Dosis beginnen.

Weitere Informationen zur Anwendung von Zokinvy entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Zokinvy?

Patienten mit dem Hutchinson-Gilford-Progeria-Syndrom und mit progeroiden Laminopathien mit Verarbeitungsfehler weisen eine Akkumulation abnormer Formen der Proteine auf, die als Progerin oder Progerie-ähnliche Proteine bezeichnet werden, die Zellen schädigen und bereits in jungem Lebensalter Alterungserscheinungen verursachen. Zokinvy verhindert eine chemische Reaktion, die an



der Bildung dieser abnormen Proteine beteiligt ist, und trägt so dazu bei, die Symptome der Erkrankungen zu lindern.

Welchen Nutzen hat Zokinvy in den Studien gezeigt?

Zwei Hauptstudien haben gezeigt, dass Zokinvy das Leben von Patienten mit dem Hutchinson-Gilford-Progeria-Syndrom und mit progeroiden Laminopathien mit Verarbeitungsfehler verlängert. An den Studien nahmen 62 Patienten teil, die Zokinvy erhielten. Drei Jahre nach Beginn der Behandlung mit Zokinvy lebten die Patienten zwischen 2,5 Monaten und etwa einem halben Jahr länger als die 62 Patienten, die nicht an den Studien teilnahmen und denen Zokinvy nicht gegeben wurde. Zum Zeitpunkt der letzten Nachbeobachtung (etwa 11 Jahre nach Beginn der Behandlung) lebten Patienten, die Zokinvy (und möglicherweise weitere Behandlungen) erhielten, durchschnittlich 4,3 Jahre länger als unbehandelte Patienten. In Anbetracht der begrenzten verfügbaren Daten könnte die zusätzliche Lebensdauer jedoch nur 2,6 Jahre betragen.

Welche Risiken sind mit Zokinvy verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Zokinvy (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Erbrechen, Durchfall, erhöhte Leberenzymwerte, verminderter Appetit, Übelkeit, Bauchschmerzen, Müdigkeit, Gewichtsverlust, Verstopfung und Infektionen der oberen Atemwege (Nasen- und Racheninfektionen).

Sehr häufige schwerwiegende Nebenwirkungen von Zokinvy (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind erhöhte Leberenzymwerte, zerebrale Ischämie (verringerte Blutversorgung des Gehirns), Fieber und Dehydrierung.

Warum wurde Zokinvy in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung von Zokinvy gab es keine anderen Arzneimittel zur Behandlung des Hutchinson-Gilford-Progeria-Syndroms und progeroider Laminopathien mit Verarbeitungsfehler. Die Ergebnisse aus den Studien mit Zokinvy zeigten, dass dieses Arzneimittel das Leben von Patienten mit diesen Erkrankungen verlängern kann. Die sehr häufigen Nebenwirkungen wie Durchfall, Übelkeit und Erbrechen traten hauptsächlich in den ersten 4 Monaten der Behandlung auf und waren beherrschbar.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Zokinvy gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU unter „Außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen werden kann. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Zokinvy zu erlangen.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Übersicht wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Zokinvy noch erwartet?

Da Zokinvy eine Zulassung unter „Außergewöhnlichen Umständen“ erteilt wurde, wird das Unternehmen, das Zokinvy in Verkehr bringt, Daten aus einem Register der mit dem Arzneimittel behandelten Patienten bereitstellen, um die Sicherheit und Wirksamkeit von Zokinvy sowie die Lebensqualität der Patienten weiter zu bewerten.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Zokinvy ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Zokinvy, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Zokinvy kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Zokinvy werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Zokinvy

Weitere Informationen zu Zokinvy finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy