



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (λοναφαρνίμπη)

Ανασκόπηση του Zokinvy και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Zokinvy και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Zokinvy είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών ηλικίας 12 μηνών και άνω οι οποίοι πάσχουν από τις ακόλουθες σπάνιες νόσους, στις οποίες κατά την παιδική ηλικία εμφανίζονται χαρακτηριστικά πρόωρου γήρατος:

- σύνδρομο προγηρίας Hutchinson-Gilford
- ανεπαρκείς στην επεξεργασία προγηροειδείς λαμινοπάθειες.

Οι νόσοι για τις οποίες χορηγείται το Zokinvy είναι «σπάνιες» και το Zokinvy χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» στις [14 Δεκεμβρίου 2018](#) για τη θεραπεία του συνδρόμου προγηρίας Hutchinson-Gilford.

Το Zokinvy περιέχει τη δραστική ουσία λοναφαρνίμπη.

Πώς χρησιμοποιείται το Zokinvy;

Το Zokinvy χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρούς με πείρα στη θεραπεία ασθενών που παρουσιάζουν πρόωρη γήρανση ή που πάσχουν από σπάνιες μεταβολικές παθήσεις.

Το Zokinvy διατίθεται υπό μορφή καψακίων που λαμβάνονται μαζί με τροφή δύο φορές την ημέρα. Η ημερήσια δόση έναρξης (η οποία κυμαίνεται από 75 έως 225 mg) εξαρτάται από το ύψος και το βάρος του ασθενούς. Μετά από 4 μήνες θεραπείας, ο ασθενής μπορεί να αρχίσει να λαμβάνει υψηλότερη δόση (συντήρησης).

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Zokinvy, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Zokinvy;

Οι ασθενείς που πάσχουν από το σύνδρομο προγηρίας Hutchinson-Gilford ή από ανεπαρκείς στην επεξεργασία προγηροειδείς λαμινοπάθειες εμφανίζουν συσσώρευση μη φυσιολογικών μορφών προγερίνης ή πρωτεϊνών που προσομοιάζουν με προγερίνη, οι οποίες προκαλούν βλάβη στα κύτταρα με αποτέλεσμα την εμφάνιση συμπτωμάτων γήρανσης στα πρώτα στάδια της ζωής. Το Zokinvy

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



προλαμβάνει μια χημική αντίδραση που σχετίζεται με τον σχηματισμό αυτών των μη φυσιολογικών πρωτεϊνών, συμβάλλοντας με αυτόν τον τρόπο στη βελτίωση των συμπτωμάτων των νόσων.

Ποια είναι τα οφέλη του Zokinvy σύμφωνα με τις μελέτες;

Δύο κύριες μελέτες κατέδειξαν ότι το Zokinvy παρατείνει τη ζωή των ασθενών με σύνδρομο προγηρίας Hutchinson-Gilford και με ανεπαρκείς στην επεξεργασία προγηροειδείς λαμινοπάθειες. Στις μελέτες μετείχαν 62 ασθενείς που έλαβαν Zokinvy. Τρία έτη μετά την έναρξη της θεραπείας μόνο με Zokinvy, οι ασθενείς έζησαν από 2,5 μήνες έως περίπου 6 μήνες περισσότερο από τους 62 ασθενείς που δεν συμμετείχαν στις μελέτες και δεν έλαβαν Zokinvy. Κατά την τελευταία παρακολούθηση (περίπου 11 χρόνια μετά την έναρξη της θεραπείας), οι ασθενείς που έλαβαν Zokinvy (και ενδεχομένως πρόσθετες θεραπείες) επιβίωσαν κατά μέσο όρο 4,3 έτη περισσότερο από τους ασθενείς που δεν έλαβαν θεραπεία. Ωστόσο, δεδομένων των περιορισμένων διαθέσιμων δεδομένων, τα επιπλέον έτη επιβίωσης μπορεί να είναι μόλις 2,6 έτη.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Zokinvy;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Zokinvy (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι έμετος, διάρροια, αυξημένα επίπεδα ηπατικών ενζύμων, μειωμένη όρεξη, ναυτία, κοιλιακό άλγος, κόπωση, απώλεια βάρους, δυσκοιλιότητα και λοίμωξη του ανώτερου αναπνευστικού συστήματος (λοίμωξη της μύτης και του φάρυγγα).

Οι συχνότερες σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες του Zokinvy (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στα 10 άτομα) είναι αυξημένα επίπεδα ηπατικών ενζύμων, εγκεφαλική ισχαιμία (μειωμένη αιμάτωση του εγκεφάλου), πυρετός και αφυδάτωση.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Zokinvy στην ΕΕ;

Κατά τη στιγμή της χορήγησης άδειας κυκλοφορίας στο Zokinvy δεν υπήρχαν άλλα φάρμακα για τη θεραπεία του συνδρόμου προγηρίας Hutchinson-Gilford και των ανεπαρκών στην επεξεργασία προγηροειδών λαμινοπαθειών. Τα αποτελέσματα από τις μελέτες για το Zokinvy κατέδειξαν ότι το φάρμακο αυτό μπορεί να παρατείνει τη ζωή των ασθενών που πάσχουν από τις εν λόγω παθήσεις. Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες, όπως διάρροια, ναυτία και έμετος, εμφανίστηκαν κυρίως κατά τους πρώτους 4 μήνες της θεραπείας και ήταν αντιμετωπίσιμες.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Zokinvy υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ υπό «εξαιρετικές περιστάσεις», καθώς, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Zokinvy.

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα ανασκόπηση θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Zokinvy αναμένεται να υποβληθούν;

Δεδομένου ότι το Zokinvy εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», η παρασκευάστρια εταιρεία του Zokinvy θα παράσχει δεδομένα από μητρώο ασθενών που έλαβαν το φάρμακο, με σκοπό την περαιτέρω αξιολόγηση της ασφάλειας και της αποτελεσματικότητας του Zokinvy, καθώς και της ποιότητας ζωής των ασθενών.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Zokinvy;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Zokinvy.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Zokinvy τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Zokinvy αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Zokinvy

Περισσότερες πληροφορίες για το Zokinvy διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy