



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnib*)

Información general sobre Zokinvy y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Zokinvy y para qué se utiliza?

Zokinvy es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de pacientes a partir de los 12 meses afectados por las siguientes enfermedades raras, cuyas características que se asemejan al envejecimiento aparecen en la infancia:

- síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford;
- laminopatías progeroides con deficiencia de procesamiento.

Las enfermedades para las que se utiliza Zokinvy son «raras», y Zokinvy fue designado «medicamento huérfano» el [14 de diciembre de 2018](#) para el síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford.

Zokinvy contiene el principio activo lonafarnib.

¿Cómo se usa Zokinvy?

Zokinvy solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá iniciarlo un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con envejecimiento prematuro o enfermedades metabólicas raras.

Zokinvy se presenta en cápsulas que se toman con alimentos dos veces al día. La dosis diaria inicial (que oscila entre 75 y 225 mg) depende de la altura y el peso del paciente. Al cabo de 4 meses de tratamiento, el paciente puede empezar a tomar una dosis más alta (de mantenimiento).

Para más información sobre el uso de Zokinvy, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Zokinvy?

Los pacientes con síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford y con laminopatías progeroides con deficiencia de procesamiento presentan una acumulación de formas anormales de progerina o proteínas similares a la progerina, lo que provoca daños en las células y provoca síntomas de envejecimiento al principio de la vida. Zokinvy previene una reacción química que interviene en la formación de estas proteínas anormales, lo que ayuda a mejorar los síntomas de estas enfermedades.

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



¿Qué beneficios ha demostrado tener Zokinvy en los estudios realizados?

Dos estudios principales han demostrado que Zokinvy prolonga la vida de los pacientes con síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford y con laminopatías progeroides con deficiencia de procesamiento. En los estudios participaron 62 pacientes a los que se administró Zokinvy. Tres años después del inicio del tratamiento con Zokinvy en monoterapia, los pacientes vivieron entre 2,5 meses y aproximadamente 6 meses más que los 62 pacientes que no participaron en los estudios y a los que no se administró Zokinvy. En el momento del último seguimiento (unos 11 años después del inicio del tratamiento), los pacientes a los que se administró Zokinvy (y posiblemente tratamientos adicionales) vivieron un promedio de 4,3 años más que los pacientes no tratados. Sin embargo, dado que los datos disponibles son limitados, los años adicionales de supervivencia podrían ser tan bajos como 2,6 años.

¿Cuál es el riesgo asociado a Zokinvy?

Los efectos adversos más frecuentes de Zokinvy (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son vómitos, diarrea, aumento de las enzimas hepáticas, disminución del apetito, náuseas, dolor abdominal, cansancio, pérdida de peso, estreñimiento e infección de las vías respiratorias superiores (infección de nariz y garganta).

Los efectos adversos graves más frecuentes de Zokinvy (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son aumento de las enzimas hepáticas, isquemia cerebral (reducción del aporte de sangre al cerebro), fiebre y deshidratación.

¿Por qué se ha autorizado Zokinvy en la UE?

En el momento de la autorización de Zokinvy no había otros medicamentos para tratar el síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford ni las laminopatías progeroides con deficiencia de procesamiento. Los resultados de los estudios de Zokinvy demostraron que este medicamento puede prolongar la vida de los pacientes con estas enfermedades. Los efectos adversos más frecuentes, como diarrea, náuseas y vómitos, se produjeron principalmente en los primeros 4 meses de tratamiento y fueron controlables.

Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Zokinvy son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Zokinvy debido a la rareza de la enfermedad.

La Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará anualmente la información nueva que esté disponible y actualizará esta información general cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Zokinvy?

Dado que Zokinvy se ha autorizado en circunstancias excepcionales, la compañía que lo comercializa proporcionará datos procedentes de un registro de pacientes tratados con el medicamento para evaluar más a fondo la seguridad y la eficacia de Zokinvy, así como la calidad de vida de los pacientes.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Zokinvy?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Zokinvy se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Zokinvy se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Zokinvy son evaluados cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Zokinvy

Puede encontrar información adicional sobre Zokinvy en la página web de la Agencia:

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