



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zokinvy (lonafarniib)

Ülevaade ravimist Zokinvy ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

### Mis on Zokinvy ja milleks seda kasutatakse?

Zokinvy on ravim, mida kasutatakse vähemalt 12-kuuste patsientide raviks, kellel esinevad järgmised harvikaigused, mille korral ilmnevad lapseas vananemist meenutavad tunnused:

- Hutchinson-Gilfordi progeeria sündroom;
- puudulikust töötlemisest tingitud progeroidsed laminopaatiad.

Zokinvyga ravitavad haigused esinevad harva ja Zokinvy nimetati [14. detsembril 2018](#) Hutchinson-Gilfordi progeeria sündroomi harvikravimiks.

Zokinvy sisaldab toimeainena lonafarniibi.

### Kuidas Zokinvyt kasutatakse?

Zokinvy on retseptiravim ja ravi peab alustama enneaegse vananemise või harvaesinevate ainevahetusseisunditega patsientide ravis kogunud arst.

Zokinvyt turustatakse kapslitena, mida võetakse koos toiduga kaks korda ööpäevas. Ööpäevane algannus (75–225 mg) sõltub patsiendi pikkusest ja kehamassist. Pärast 4-kuulist ravi võib patsient alustada suurema (säilitus-)annuse võtmist.

Lisateavet Zokinvy kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

### Kuidas Zokinvy toimib?

Hutchinson-Gilfordi progeeria sündroomiga ja puudulikust töötlemisest tingitud progeroidsete laminopaatiatega patsientide organismi koguneb ebanormaalseid progeriin- või progeriinilaadseid valke, mis kahjustavad rakke ja põhjustavad enneaegse vananemise sümptomite teket. Zokinvy ennetab selliseid ebanormaalseid valke tekitavat keemilist reaktsiooni, aidates nii leevendada nende haiguste sümptomeid.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## Milles seisneb uuringute põhjal Zokinvy kasulikkus?

Kaks põhiuuringut tõendasid, et Zokinvy pikendab Hutchinson-Gilfordi progeeria sündroomiga ja puudulikust töötlemisest tingitud progeroidsete laminopaatiatega patsientide elu. Uuringutes osales 62 patsienti, kes said Zokinvyt. Kolm aastat Zokinvy monoterapiat saanud patsientide elumus oli 2,5 kuud kuni ligikaudu pool aastat pikem kui 62 patsiendil, kes ei osalenud uuringutes ja kellele ei manustatud Zokinvyt. Viimase järelkontrolli ajal (ligikaudu 11 aastat pärast ravi algust) oli Zokinvyt (ja tõenäoliselt ka lisaravi) saanud patsientide keskmine elumus 4,3 aastat pikem kui ravimata patsientidel. Olemasolevate andmete piiratust arvestades võib nende patsientide elumus olla ainult 2,6 aastat pikem.

## Mis riskid Zokinvyga kaasnevad?

Zokinvy kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on oksendamine, kõhulahtisus, maksaensüümide sisalduse suurenemine, isutus, iiveldus, kõhuvalu, väsimus, kaalukaotus, kõhukinnisus ja ülemiste hingamisteede infektsioonid (nina- ja kurguinfektsioon).

Zokinvy kõige sagedamad rasked kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on maksaensüümide sisalduse suurenemine, ajuisheemia (aju verevarustuse vähenemine), palavik ja dehüdratsioon.

## Miks Zokinvy ELis heaks kiideti?

Zokinvy müügiloo andmise ajal ei olnud Hutchinson-Gilfordi progeeria sündroomi ja puudulikust töötlemisest tingitud progeroidsete laminopaatiate raviks muid ravimeid. Zokinvy uuringute tulemused tõendasid, et see ravim võib pikendada nende haigusseisunditega patsientide elu. Kõige sagedamad kõrvalnähud (nt kõhulahtisus, iiveldus ja oksendamine) esinesid peamiselt esimese 4 ravikuu jooksul ja olid ohjatatavad.

Euroopa Raviamet otsustas, et Zokinvy kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita erandkorras. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Zokinvy kohta täielikku teavet.

Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

## Mis teavet Zokinvy kohta veel oodatakse?

Et Zokinvy on saanud müügiloo erandlikel asjaoludel, esitab Zokinvy turustaja ravimit saanud patsientide registri andmed, et hinnata täiendavalt Zokinvy ohutust ja efektiivsust ning patsientide elukvaliteeti.

## Mis meetmed võetakse, et tagada Zokinvy ohutu ja efektiivne kasutamine?

Zokinvy ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Zokinvy kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Zokinvy kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

## Muu teave Zokinvy kohta

Lisateave Zokinvy kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy)