



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnibi*)

Yleistiedot Zokinvyistä sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Zokinvy on ja mihin sitä käytetään?

Zokinvy on lääke, jolla hoidetaan vähintään 12 kuukauden ikäisiä potilaita, joilla on jokin seuraavista harvinaisista sairauksista, joissa ikääntymisen kaltaiset piirteet ilmenevät lapsuudessa:

- Hutchinson-Gilfordin progeriaoireyhtymä
- pilkkomisvajeiset progeria-laminopatiat.

Zokinvylla hoidettavat sairaudet ovat harvinaisia, ja Zokinvy nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi [14. joulukuuta 2018](#) Hutchinson-Gilfordin progeriaoireyhtymän hoitoa varten.

Zokinvyn vaikuttava aine on lonafarnibi.

Miten Zokinvyä käytetään?

Zokinvyä saa vain lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa vain lääkäri, joka on perehtynyt ennenaikaisen vanhentumisen tai harvinaisten aineenvaihduntasairauksien hoitoon.

Zokinvyä on saatavana kapsleina, jotka otetaan aterian yhteydessä kahdesti vuorokaudessa. Päivittäinen aloitusannos (joka on 75–225 mg) määräytyy potilaan pituuden ja painon mukaan. Kun hoito on kestänyt neljä kuukautta, potilas voi aloittaa suuremman (ylläpito)annoksen ottamisen.

Lisätietoja Zokinvyn käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Zokinvy vaikuttaa?

Potilailla, joilla on Hutchinson-Gilfordin progeriaoireyhtymä tai pilkkomisvajeinen progeria-laminopatia, elimistöön kerääntyy epänormaaleja progeriinin tai progeriinin kaltaisten proteiinien muotoja, mikä vahingoittaa soluja ja johtaa ikääntymisen oireisiin elämän varhaisvaiheessa. Zokinvy estää näiden epänormaalien proteiinien muodostumiseen liittyvän kemiallisen reaktion ja auttaa siten lievittämään sairauksien oireita.



Mitä hyötyä Zokinvyta on havaittu tutkimuksissa?

Kahdessa päätutkimuksessa on osoitettu, että Zokinvy pidentää Hutchinson-Gilfordin progeriaoireyhtymää ja pilkkomisvajeista progeria-laminopatiaa sairastavien potilaiden elinaikaa. Tutkimuksiin osallistui 62 potilasta, joille annettiin Zokinvyä. Kolme vuotta yksinään annetun Zokinvy-hoidon aloittamisen jälkeen potilaat elivät noin 2,5–6 kuukautta pidempään kuin sellaiset 62 potilasta, jotka eivät osallistuneet tutkimuksiin ja joille ei annettu Zokinvyä. Viimeisimmän seurannan aikana (noin 11 vuotta hoidon aloittamisen jälkeen) Zokinvyä (ja mahdollisesti muita lisähoitoja) saaneet potilaat elivät keskimäärin 4,3 vuotta pitempään kuin hoitamattomat potilaat. Koska tietoja oli kuitenkin saatavilla vain vähän, lisävuosien määrä voi olla alimmillaan 2,6 vuotta.

Mitä riskejä Zokinvyyn liittyy?

Zokinvyyn yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat oksentelu, ripuli, maksaentsyymien pitoisuuden suureneminen, ruokahalun väheneminen, pahoinvointi, mahakipu, väsymys, painonlasku, ummetus ja ylähengitysteiden infektiot (nenän ja nielun infektiot).

Zokinvyyn yleisimmät vakavat haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat maksaentsyymien pitoisuuden suureneminen, aivoiskemia (aivojen verensaannin heikkeneminen), kuume ja nestehukka.

Miksi Zokinvy on hyväksytty EU:ssa?

Zokinvyyn myyntiluvan myöntämisen aikaan markkinoilla ei ollut muita Hutchinson-Gilfordin progeriaoireyhtymän ja pilkkomisvajeisen progeria-laminopatian hoitoon tarkoitettuja lääkkeitä. Zokinvy-tutkimusten tulokset osoittivat, että lääke voi pidentää näitä sairauksia sairastavien potilaiden elinaikaa. Yleisimpiä haittavaikutuksia, kuten ripulia, pahoinvointia ja oksentelua, esiintyi pääasiassa neljän ensimmäisen hoitokuukauden aikana, ja ne olivat hallittavissa.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Zokinvyyn hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa ns. poikkeuksellisissa olosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Zokinvyta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja.

Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Zokinvyta odotetaan vielä saatavan?

Koska Zokinvy on saanut myyntiluvan poikkeusolosuhteissa, sitä markkinoiva yhtiö toimittaa tietoja valmisteella hoidettuja potilaita koskevasta rekisteristä, jotta Zokinvyyn turvallisuutta ja tehoa sekä potilaiden elämänlaatua voidaan arvioida tarkemmin.

Miten voidaan varmistaa Zokinvyyn turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Zokinvyyn käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Zokinvyyn käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Zokinvyta ilmoitetut epäillyt haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Zokinvyta

Lisää tietoa Zokinvyta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy