



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnib*)

Aperçu de Zokinvy et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Zokinvy et dans quel cas est-il utilisé?

Zokinvy est un médicament utilisé dans le traitement des patients âgés de 12 mois et plus atteints des maladies rares suivantes, dans lesquelles des caractéristiques ressemblant au vieillissement apparaissent pendant l'enfance:

- syndrome de Hutchinson-Gilford (progéria);
- laminopathies progéroïdes.

Les maladies traitées par Zokinvy sont rares et Zokinvy a reçu la désignation de «médicament orphelin» le [14 décembre 2018](#) pour le syndrome de Hutchinson-Gilford (progéria).

Zokinvy contient la substance active lonafarnib.

Comment Zokinvy est-il utilisé?

Zokinvy n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré par des médecins expérimentés dans le traitement de patients présentant un vieillissement prématuré ou des maladies métaboliques rares.

Zokinvy est disponible sous la forme de gélules à prendre avec des aliments deux fois par jour. La dose journalière initiale (comprise entre 75 et 225 mg) dépend de la taille et du poids du patient. Après 4 mois de traitement, le patient peut commencer à prendre une dose (d'entretien) plus élevée.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Zokinvy, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Zokinvy agit-il?

Les patients atteints du syndrome de Hutchinson-Gilford (progéria) et de laminopathies progéroïdes présentent une accumulation de formes anormales de progérine ou de protéines de type progérine, qui endommagent les cellules et entraînent des symptômes de vieillissement précoce. Zokinvy empêche une réaction chimique impliquée dans la formation de ces protéines anormales, contribuant ainsi à améliorer les symptômes des maladies.

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



Quels sont les bénéfices de Zokinvy démontrés au cours des études?

Deux études principales ont montré que Zokinvy prolonge la vie des patients atteints du syndrome de Hutchinson-Gilford (progéria) et de laminopathies progéroïdes. Les études ont porté sur 62 patients auxquels Zokinvy a été administré. Trois ans après le début du traitement par Zokinvy uniquement, les patients ont vécu entre 2,5 mois et environ six mois de plus que les 62 patients qui n'avaient pas participé aux études et n'avaient pas reçu Zokinvy. Au moment du dernier suivi (environ 11 ans après le début du traitement), les patients ayant reçu Zokinvy (et éventuellement des traitements supplémentaires) vivaient en moyenne 4,3 ans de plus que les patients non traités. Toutefois, compte tenu du peu de données disponibles, les années supplémentaires pourraient ne pas dépasser 2,6 ans.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Zokinvy?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Zokinvy (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: vomissements, diarrhée, augmentation des taux d'enzymes hépatiques, appétit diminué, nausées, douleurs abdominales, fatigue, perte de poids, constipation et infection des voies aériennes supérieures (infection du nez et de la gorge).

Les effets indésirables graves les plus couramment observés sous Zokinvy (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les suivants: augmentation des taux d'enzymes hépatiques, ischémie cérébrale (circulation sanguine réduite vers le cerveau), fièvre et déshydratation.

Pourquoi Zokinvy est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'autorisation de Zokinvy, il n'y avait pas d'autres médicaments pour le traitement du syndrome de Hutchinson-Gilford (progéria) et des laminopathies progéroïdes. Les résultats des études sur Zokinvy ont montré que ce médicament peut prolonger la vie des patients atteints de ces maladies. Les effets indésirables les plus couramment observés, tels que diarrhée, nausées et vomissements, se sont principalement produits au cours des quatre premiers mois de traitement et étaient gérables.

L'Agence européenne des médicaments a donc estimé que les bénéfices de Zokinvy sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE dans des «circonstances exceptionnelles». En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Zokinvy en raison de la rareté de la maladie.

Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Zokinvy?

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Zokinvy, la société qui commercialise Zokinvy fournira des données provenant d'un registre des patients traités par le médicament afin d'évaluer plus avant la sécurité et l'efficacité de Zokinvy ainsi que la qualité de vie des patients.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Zokinvy?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Zokinvy ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Zokinvy sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Zokinvy sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Zokinvy:

Des informations sur Zokinvy sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy