



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnib*)

A Zokinvy-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Zokinvy és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Zokinvy olyan 12 hónapos vagy idősebb betegek kezelésére alkalmazott gyógyszer, akik az alábbi ritka betegségekben szenvednek, melyek során gyermekkorban megjelennek az öregedésre emlékeztető jellegzetességek:

- Hutchinson–Gilford progéria szindróma
- feldolgozáshiányos laminopátiák

Mivel a Zokinvy-val kezelt betegségek „ritkának” minősülnek, ezért a Zokinvy-t [2018. december 14-én](#) a Hutchinson–Gilford progéria szindróma tekintetében „ritka betegségek elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

Milyen típusú gyógyszer a Zokinvy? A Zokinvy hatóanyaga a lonafarnib.

Hogyan kell alkalmazni a Zokinvy-t?

A Zokinvy csak receptre kapható, és a kezelést a korai öregedésben vagy ritka anyagcsere-betegségekben szenvedő betegek kezelésében jártas szakorvosnak kell megkezdenie.

A Zokinvy kapszula formájában kapható, amelyet naponta kétszer, étkezés közben kell bevenni. A kezdő napi adag (amely 75 és 225 mg között mozog) a beteg magasságától és testsúlyától függ. Négy hónap kezelést követően a beteg elkezdhet magasabb (fenntartó) adagot szedni.

A Zokinvy alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Zokinvy?

A Hutchinson–Gilford progéria szindrómában és feldolgozáshiányos progeroid laminopátiákban szenvedő betegeknél felhalmozódnak a progerin vagy progerin-szerű fehérjék kóros formái, ami károsítja a sejteket, és az öregedés tüneteinek vezet már az élet korai szakaszában. A Zokinvy



megakadályozza az ezen kóros fehérjék termelődésében szerepet játszó kémiai reakciót, ezáltal segít enyhíteni a betegségek tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Zokinvy alkalmazásának a vizsgálatok során?

Két fő vizsgálat igazolta, hogy a Zokinvy meghosszabbítja a Hutchinson-Gilford progéria szindrómában és feldolgozáshiányos progeroid laminopátiákban szenvedő betegek életét. A vizsgálatokban 62 beteg vett részt, akik Zokinvy-t kaptak. Három évvel a csak Zokinvy-val végzett kezelés megkezdése után a betegek 2,5 hónappal –fél évvel hosszabb ideig éltek, mint az a 62 beteg, akik nem vettek részt a vizsgálatokban és nem kaptak Zokinvy-t. Az utolsó utánkövetés idején (körülbelül 11 évvel a kezelés megkezdése után) a Zokinvy-t (és esetleg további kezeléseket) kapó betegek átlagosan 4,3 évvel éltek tovább, mint a nem kezelt betegek. A rendelkezésre álló adatok korlátozottsága miatt azonban az többlet életek száma akár csupán 2,6 év is lehet.

Milyen kockázatokkal jár a Zokinvy alkalmazása?

A Zokinvy leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhetnek) a hányás, hasmenés, a májenzimek emelkedett szintje, a csökkent étvágy, hányinger, hasi fájdalom, fáradtság, testsúlycsökkenés, székrekedés és felső légúti fertőzés (orr- és torokfertőzés).

A Zokinvy leggyakoribb súlyos mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhetnek) a májenzimek emelkedett szintje, az agyi iszkémia (csökkent vérrellátás az agyban), a láz és a kiszáradás.

Miért engedélyezték a Zokinvy forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Zokinvy engedélyezésekor nem állt rendelkezésre más gyógyszer a Hutchinson-Gilford progéria szindróma és a feldolgozáshiányos progeroid laminopátiák kezelésére. A Zokinvy-val végzett vizsgálatok eredményei azt mutatták, hogy ez a gyógyszer meghosszabbíthatja az ilyen betegségekben szenvedő betegek élettartamát. A leggyakoribb mellékhatások – mint például a hasmenés, hányinger és hányás – főként a kezelés első 4 hónapjában jelentkeztek, és kezelhetők voltak.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Zokinvy alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban „kivételes körülmények” között engedélyezhető. Ennek oka, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni az Zokinvy-ról.

Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Zokinvy-val kapcsolatban?

Mivel a Zokinvy forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, a Zokinvy-t forgalmazó vállalat a Zokinvy biztonságosságának és hatásosságának, valamint a betegek életminőségének további értékelése céljából a gyógyszerrel kezelt betegek nyilvántartásából származó adatokat fog benyújtani.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Zokinvy biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Zokinvy biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Zokinvy alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Zokinvy alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Zokinvy-val kapcsolatos egyéb információ

A Zokinvy-ra vonatkozó további információ az Európai Gyógyszerügynökség weboldalán található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy