



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

Zokinvy (*lonafarnib*)

Sintesi di Zokinvy e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Zokinvy e per cosa si usa?

Zokinvy è un medicinale usato per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a 12 mesi affetti dalle seguenti malattie rare, in cui caratteristiche simili all'invecchiamento appaiono nell'infanzia:

- sindrome progeroide di Hutchinson-Gilford;
- laminopatie progeroidi carenti di elaborazione.

Le malattie trattate con Zokinvy sono rare e Zokinvy è stato qualificato come "medicinale orfano" il [14 dicembre 2018](#) per la sindrome progeroide di Hutchinson-Gilford.

Zokinvy contiene il principio attivo Isonafarnib.

Come si usa Zokinvy?

Zokinvy può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere avviata da medici esperti nel trattamento di pazienti con invecchiamento prematuro o rare condizioni metaboliche.

Zokinvy è disponibile sotto forma di capsule da assumere con il cibo due volte al giorno. La dose giornaliera iniziale (che varia da 75 a 225 mg) dipende dall'altezza e dal peso del paziente. Dopo 4 mesi di trattamento il paziente può iniziare ad assumere una dose più elevata (di mantenimento).

Per maggiori informazioni sull'uso di Zokinvy, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Zokinvy?

I pazienti affetti da sindrome progeroide di Hutchinson-Gilford e da laminopatie progeroidi carenti di elaborazione presentano un accumulo di forme anomale di progerina o proteine progerin-simili, che causa danni cellulari e provoca sintomi di invecchiamento nelle prime fasi della vita. Zokinvy previene una reazione chimica coinvolta nella formazione di queste proteine anomale, contribuendo in tal modo a ridurre i sintomi di queste patologie.



Quali benefici di Zokinvy sono stati evidenziati negli studi?

Due studi principali hanno mostrato che Zokinvy prolunga la vita dei pazienti affetti da sindrome progeroide di Hutchinson-Gilford e da laminopatie progeroidi carenti di elaborazione. Gli studi sono stati condotti su 62 pazienti cui è stato somministrato Zokinvy. Tre anni dopo l'inizio del trattamento solo con Zokinvy, la sopravvivenza dei pazienti è stata superiore da 2,5 a circa sei mesi rispetto a quella di 62 pazienti che non hanno partecipato agli studi e a cui non è stato somministrato Zokinvy. Al momento dell'ultimo follow-up (circa 11 anni dopo l'inizio del trattamento), la sopravvivenza dei pazienti trattati con Zokinvy (ed eventualmente con trattamenti ulteriori) è stata in media superiore di 4,3 anni rispetto a quella dei pazienti non trattati. Tuttavia, in considerazione dei limitati dati disponibili, gli anni di sopravvivenza aggiuntivi potrebbero essere appena 2,6.

Quali sono i rischi associati a Zokinvy?

Gli effetti indesiderati più comuni di Zokinvy (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono vomito, diarrea, livelli aumentati di enzimi epatici, appetito ridotto, nausea, dolore addominale, stanchezza, calo ponderale, stipsi e infezione delle vie respiratorie superiori (infezione di naso e gola).

Gli effetti indesiderati gravi più comuni di Zokinvy (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono livelli aumentati di enzimi epatici, ischemia cerebrale (riduzione dell'afflusso di sangue al cervello), febbre e disidratazione.

Perché Zokinvy è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'autorizzazione di Zokinvy non esistevano altri medicinali per il trattamento della sindrome progeroide di Hutchinson-Gilford e delle laminopatie progeroidi carenti di elaborazione. I risultati degli studi su Zokinvy hanno mostrato che questo medicinale può prolungare la vita dei pazienti affetti da queste patologie. Gli effetti indesiderati più comuni, come diarrea, nausea e vomito, si sono manifestati prevalentemente nei primi 4 mesi di trattamento e sono risultati gestibili.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Zokinvy sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Zokinvy a causa della rarità della malattia.

Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Zokinvy?

Poiché Zokinvy è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Zokinvy fornirà dati provenienti da un registro di pazienti trattati con il medicinale al fine di valutare ulteriormente la sicurezza e l'efficacia di Zokinvy, nonché la qualità della vita dei pazienti.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Zokinvy?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Zokinvy sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Zokinvy sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati presunti segnalati con Zokinvy vengono valutati attentamente e viene intrapresa qualsiasi azione necessaria per tutelare i pazienti.

Altre informazioni su Zokinvy

Ulteriori informazioni su Zokinvy sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy