



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnibs*)

Zokinvy pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Zokinvy un kāpēc tās lieto?

Zokinvy ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pacientus no 12 mēnešu vecuma, kurus skārušas šādas retas slimības, kuru iezīme ir līdzīga novecošanai bērnībā:

- Hatčinsona-Gilforda progērijas sindroms;
- progeroīdu laminopātijas apstrādes trūkumu.

Slimības, kuru ārstēšanai lieto Zokinvy, ir retas, un [2018. gada 14. decembrī](#) Zokinvy tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss attiecībā uz Hatčinsona-Gilforda progērija sindromu.

Zokinvy satur aktīvo vielu lonafarnibu.

Kā lieto Zokinvy?

Zokinvy var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk ārstiem ar pieredzi tādu pacientu ārstēšanā, kuriem ir priekšlaicīgas novecošanas vai retas vielmaiņas slimības.

Zokinvy ir pieejamas kapsulu veidā, kuras lieto kopā ar uzturu divreiz dienā. Sākmdeva (75–225 mg) ir atkarīga no pacienta auguma un svara. Pēc četrus mēnešus ilgas ārstēšanas pacients var sākt lietot lielāku (uzturošo) devu.

Papildu informāciju par Zokinvy lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā Zokinvy darbojas?

Pacientiem ar Hatčinsona-Gilforda progērijas sindromu un apstrādes deficīta progeroīdu laminopātiju, uzkrājas patoloģiskas progerīna vai progerīnam līdzīgas olbaltumvielas, kas izraisa šūnu bojājumus un novecošanas simptomus dzīves sākumā. Zokinvy novērš ķīmisko reakciju, kas iesaistīta šo patoloģisko olbaltumvielu veidošanā, tādējādi palīdzot mazināt šo slimību simptomus.



Kādas ir bijušas *Zokinvy* priekšrocības šajos pētījumos?

Divos pamatpētījumos tika pierādīts, ka *Zokinvy* pagarina dzīvildzi pacientiem ar Hatčinsona-Gilforda progērijas sindromu un progenoīdu laminopātijām, kam ir trūkumi apstrādes procesā. Šajos pētījumos piedalījās 62 pacienti, kas lietoja *Zokinvy*. Trīs gadus pēc ārstēšanas uzsākšanas tikai ar *Zokinvy* pacienti nodzīvoja no 2,5 mēnešiem līdz apmēram pusgadam ilgāk nekā 62 pacienti, kuri nepiedalījās pētījumos un nesaņēma *Zokinvy*. Pēdējās atkārtotās apsekošanas laikā (apmēram 11 gadus pēc ārstēšanas uzsākšanas) pacienti, kuri saņēma *Zokinvy* (un, iespējams, arī citas terapijas), dzīvoja vidēji par 4,3 gadiem ilgāk nekā neārstētie pacienti. Tomēr, ņemot vērā ierobežoti pieejamos datus, papildu dzīvildze varētu būt tikai 2,6 gadi.

Kāds risks pastāv, lietojot *Zokinvy*?

Visbiežākās *Zokinvy* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir vemšana, caureja, paaugstināts aknu enzīmu līmenis, samazināta ēstgriba, nelabums, sāpes vēderā, nogurums, svara zudums, aizcietējums un augšējo elpceļu infekcija (deguna un rīkles infekcija).

Visbiežākās nopietnās *Zokinvy* blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir paaugstināts aknu enzīmu līmenis, cerebrāla išēmija (samazināta asins piegāde smadzenēm), drudzis un dehidratācija.

Kāpēc *Zokinvy* ir reģistrētas ES?

Zokinvy reģistrācijas brīdī nebija citu zāļu Hatčinsona-Gilforda progērijas sindroma un tādu progenoīdu laminopātiju ārstēšanai, kuriem ir trūkumi apstrādes procesā. *Zokinvy* pētījumu rezultāti liecina, ka šīs zāles var pagarināt dzīvildzi pacientiem ar šādām slimībām. Visbiežāk novērotās blakusparādības, piemēram, caureja, slikta dūša un vemšana, radās galvenokārt pirmajos četros ārstēšanas mēnešos un bija kontrolējamas.

Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Zokinvy*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka šīs slimības retuma dēļ nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Zokinvy*.

Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Zokinvy* vēl ir sagaidāma?

Tā kā *Zokinvy* ir reģistrētas izņēmuma kārtā, uzņēmums, kas tirgū piedāvā *Zokinvy*, no pacientu reģistra nodrošinās datus par tiem, kuri tiek ārstēti ar šīm zālēm, lai turpinātu izvērtēt *Zokinvy* drošumu un efektivitāti, kā arī pacientu dzīves kvalitāti.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Zokinvy* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Zokinvy* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Zokinvy* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Zokinvy* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Zokinvy*

Sīkāka informācija par *Zokinvy* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy