



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnib*)

Een overzicht van Zokinvy en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Zokinvy en wanneer wordt het voorgeschreven?

Zokinvy is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten van twaalf maanden en ouder met de volgende zeldzame aandoeningen waarbij op veroudering lijkende kenmerken in de kindertijd optreden:

- Hutchinson-Gilfordprogeriasyndroom,
- verwerkingsdeficiënte progeroïde laminopathieën.

De aandoeningen waarvoor Zokinvy wordt gebruikt zijn zeldzaam en Zokinvy werd op [14 december 2018](#) voor Hutchinson-Gilfordprogeriasyndroom aangewezen als 'weesgeneesmiddel'.

Zokinvy bevat de werkzame stof lonafarnib.

Hoe wordt Zokinvy gebruikt?

Zokinvy is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door artsen die ervaring hebben met de behandeling van patiënten met vroegtijdige veroudering of zeldzame stofwisselingsziektes.

Zokinvy is verkrijgbaar in de vorm van capsules die tweemaal daags met voedsel moeten worden ingenomen. De aanvangsdosis (die varieert van 75 tot 225 mg) is afhankelijk van de lengte en het gewicht van de patiënt. Na vier maanden behandeling kan de patiënt een hogere (onderhouds)dosis gaan innemen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Zokinvy.

Hoe werkt Zokinvy?

Patiënten met het Hutchinson-Gilfordprogeriasyndroom en met verwerkingsdeficiënte progeroïde laminopathieën vertonen een ophoping van abnormale vormen van progerine of progerineachtige eiwitten, hetgeen schade veroorzaakt aan cellen en leidt tot verouderingsverschijnselen op jonge leeftijd. Zokinvy voorkomt een chemische reactie die een rol speelt bij de vorming van deze afwijkende eiwitten. Dit helpt om de symptomen van de aandoeningen te verbeteren.

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



Welke voordelen bleek Zokinvy tijdens de studies te hebben?

Uit twee hoofdstudies is gebleken dat Zokinvy het leven van patiënten met het Hutchinson-Gilfordprogeriasyndroom en met verwerkingsdeficiënte progeroïde laminopathieën verlengt. Bij de studies waren 62 patiënten betrokken die Zokinvy kregen. Drie jaar na aanvang van de behandeling met alleen Zokinvy leefden de patiënten 2,5 maanden tot ongeveer een half jaar langer dan de 62 patiënten die niet aan de studies deelnamen en die geen Zokinvy kregen. Bij de laatste follow-up (ongeveer 11 jaar na aanvang van de behandeling) leefden patiënten die Zokinvy (en mogelijk aanvullende behandelingen) kregen gemiddeld 4,3 jaar langer dan onbehandelde patiënten. Gezien de beperkte beschikbare gegevens zou de toegenomen levensduur echter slechts 2,6 jaar kunnen bedragen.

Welke risico's houdt het gebruik van Zokinvy in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Zokinvy (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn braken, diarree, verhoogde leverenzymwaarden, verminderde eetlust, misselijkheid, buikpijn, vermoeidheid, gewichtsverlies, obstipatie en infectie van de bovenste luchtwegen (neus- en keelinfectie).

De meest voorkomende ernstige bijwerkingen van Zokinvy (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn verhoogde concentraties leverenzymen, cerebrale ischemie (verminderde bloedtoevoer naar de hersenen), koorts en dehydratie.

Waarom is Zokinvy geregistreerd in de EU?

Ten tijde van de registratie van Zokinvy waren er geen andere geneesmiddelen voor de behandeling van het Hutchinson-Gilfordprogeriasyndroom en verwerkingsdeficiënte progeroïde laminopathieën. Uit de resultaten van de studies met Zokinvy bleek dat dit geneesmiddel de levensduur van patiënten met deze aandoeningen kan verlengen. De meest voorkomende bijwerkingen, zoals diarree, misselijkheid en braken, deden zich voornamelijk voor tijdens de eerste vier maanden van de behandeling en waren beheersbaar.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Zokinvy groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Zokinvy te verkrijgen.

Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en dit overzicht zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Zokinvy?

Aangezien aan Zokinvy registratie onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, zal het bedrijf dat Zokinvy in de handel brengt gegevens uit een register van met het geneesmiddel behandelde patiënten verstrekken om de veiligheid en werkzaamheid van Zokinvy alsook de kwaliteit van leven van patiënten verder te beoordelen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Zokinvy te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Zokinvy, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Zokinvy continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Zokinvy worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Zokinvy

Meer informatie over Zokinvy is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy