



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zokinvy (*lonafarnib*)

Przegląd wiedzy na temat leku Zokinvy i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Czym jest lek Zokinvy i w jakim celu się go stosuje

Zokinvy jest lekiem stosowanym w leczeniu pacjentów w wieku 12 miesięcy i starszych, u których występują następujące rzadkie choroby, w których cechy przypominające starzenie się pojawiają się w dzieciństwie:

- zespół progerii Hutchinsona-Gilforda;
- progeroidowe laminopatie z wadliwą obróbką pre-lamin (ang. *processing-deficient progeroid laminopathy*).

Ze względu na to, że choroby te rzadko występują, a w dniu [14 grudnia 2018 r.](#) lek Zokinvy uznano za lek sierocy do stosowania w zespole progerii Hutchinsona-Gilforda.

Substancją czynną zawartą w leku Zokinvy jest lonafarnib.

### Jak stosować lek Zokinvy

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z przedwczesnym starzeniem się lub rzadkimi chorobami metabolicznymi.

Lek Zokinvy jest dostępny w postaci kapsułek do przyjmowania dwa razy na dobę z posiłkiem. Początkowa dawka dobową (wynosząca od 75 do 225 mg) zależy od wzrostu i masy ciała pacjenta. Po 4 miesiącach leczenia pacjent może zacząć przyjmować wyższą dawkę (podtrzymującą).

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Zokinvy znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

### Jak działa lek Zokinvy

U pacjentów z zespołem progerii Hutchinsona-Gilforda i progeroidowymi laminopatiami z wadliwą obróbką pre-lamin dochodzi do nagromadzenia się nieprawidłowych form progeryny lub białek podobnych do progeryny, co powoduje uszkodzenie komórek i prowadzi do objawów starzenia się we wczesnym okresie życia. Lek Zokinvy zapobiega reakcjom chemicznym biorącym udział w powstawaniu tych nieprawidłowych białek, co pomaga łagodzić objawy tych chorób.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Korzyści ze stosowania leku Zokinvy wykazane w badaniach**

W dwóch badaniach głównych wykazano, że lek Zokinvy przedłuża życie pacjentów z zespołem progerii Hutchinsona-Gilforda i progeroidowymi laminopatiami z wadliwą obróbką pre-lamin. W badaniach wzięło udział 62 pacjentów, którym podawano lek Zokinvy. Trzy lata po rozpoczęciu terapii jedynie lekiem Zokinvy pacjenci żyli od 2,5 miesiąca do około pół roku dłużej niż 62 pacjentów, którzy nie uczestniczyli w badaniach i nie otrzymywali leku Zokinvy. W czasie ostatniej kontroli (około 11 lat po rozpoczęciu leczenia) pacjenci, u których stosowano lek Zokinvy (i ewentualnie dodatkowe terapie), żyli średnio 4,3 roku dłużej niż pacjenci, którzy nie byli poddani leczeniu. Biorąc jednak pod uwagę ograniczone dostępne dane, dodatkowe lata przeżycia mogły wynieść jedynie 2,6 roku.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Zokinvy**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Zokinvy (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: wymioty, biegunka, podwyższony poziom enzymów wątrobowych, zmniejszenie łaknienia, nudności, ból brzucha, zmęczenie, zmniejszenie masy ciała, zaparcia i zakażenie górnych dróg oddechowych (zakażenie nosa i gardła).

Najczęstsze poważne działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Zokinvy (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: podwyższony poziom enzymów wątrobowych, niedokrwienie mózgu (zmniejszony dopływ krwi do mózgu), gorączka i odwodnienie.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Zokinvy w UE**

W momencie dopuszczenia leku Zokinvy do obrotu nie były dostępne inne leki stosowane w leczeniu zespołu progerii Hutchinsona-Gilforda i progeroidowych laminopatii z wadliwą obróbką pre-lamin. Wyniki badań nad lekiem Zokinvy wykazały, że lek ten może wydłużać życie pacjentów z tymi schorzeniami. Najczęstsze działania niepożądane, takie jak biegunka, nudności i wymioty, wystąpiły głównie w ciągu pierwszych 4 miesięcy leczenia i były możliwe do opanowania.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Zokinvy przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Zokinvy z uwagi na rzadkie występowanie choroby.

Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

## **Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Zokinvy**

W związku z tym, że lek Zokinvy uzyskał dopuszczenie do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca lek Zokinvy do obrotu dostarczy dane z rejestru pacjentów leczonych tym lekiem w celu dalszej oceny bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leku Zokinvy, a także jakości życia pacjentów.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Zokinvy**

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Zokinvy w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Zokinvy są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Zokinvy są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące leku Zokinvy**

Dalsze informacje na temat leku Zokinvy znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy)