



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnib*)

Um resumo sobre o Zokinvy e porque está autorizado na UE

O que é Zokinvy e para que é utilizado?

Zokinvy é um medicamento utilizado no tratamento de doentes com 12 ou mais meses de idade que são afetados pelas seguintes doenças raras, nas quais aparecem características semelhantes ao envelhecimento na infância:

- Síndrome de Hutchinson-Gilford ou progeria
- laminopatias progeroides deficientes em termos do processamento.

As doenças para as quais Zokinvy é utilizado no tratamento são raras e Zokinvy foi designado medicamento órfão em [14 de dezembro de 2018](#) para a síndrome de Hutchinson-Gilford ou progeria.

Zokinvy contém a substância ativa lonafarnib.

Como se utiliza Zokinvy?

Zokinvy só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado por médicos com experiência no tratamento de doentes com envelhecimento prematuro ou doenças metabólicas raras.

Zokinvy está disponível na forma de cápsulas a tomar com alimentos duas vezes por dia. A dose diária inicial (que varia entre 75 mg e 225 mg) depende da altura e do peso do doente. Após 4 meses de tratamento, o doente pode começar a tomar uma dose (de manutenção) mais elevada.

Para mais informações sobre a utilização de Zokinvy, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Zokinvy?

Os doentes com síndrome de Hutchinson-Gilford ou progeria e laminopatias progeroides deficientes em termos de processamento têm uma acumulação de formas anormais de progerina ou proteínas semelhantes à progerina, o que causa danos nas células e conduz a sintomas de envelhecimento no início da vida. Zokinvy previne uma reação química envolvida na formação destas proteínas anormais, ajudando assim a melhorar os sintomas das doenças.

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



Quais os benefícios demonstrados por Zokinvy durante os estudos?

Dois estudos principais demonstraram que Zokinvy prolonga a vida de doentes com síndrome de Hutchinson-Gilford ou progeria e com laminopatias progeroides deficientes em termos de processamento. Os estudos incluíram 62 doentes que receberam Zokinvy. Três anos após o início do tratamento apenas com o Zokinvy, os doentes viveram entre 2,5 meses e cerca de meio ano mais do que os 62 doentes que não participaram nos estudos e que não receberam Zokinvy. No momento do último seguimento (cerca de 11 anos após o início do tratamento), os doentes que receberam Zokinvy (e possivelmente tratamentos adicionais) viveram uma média de 4,3 anos mais do que os doentes não tratados. No entanto, tendo em conta os dados limitados disponíveis, os anos adicionais de vida poderão ser tão baixos como os 2,6 anos.

Quais são os riscos associados a Zokinvy?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Zokinvy (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são vómitos, diarreia, níveis aumentados de enzimas hepáticas, diminuição do apetite, náuseas, dor abdominal, cansaço, perda de peso, obstipação e infeção do trato respiratório superior (infeção do nariz e da garganta).

Os efeitos secundários graves mais frequentes associados a Zokinvy (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) são aumento dos níveis de enzimas hepáticas, isquemia cerebral (diminuição do fornecimento de sangue ao cérebro), febre e desidratação.

Porque está Zokinvy autorizado na UE?

No momento da autorização de Zokinvy, não existiam outros medicamentos para o tratamento da síndrome de Hutchinson-Gilford ou progeria e das laminopatias progeroides deficientes em termos de processamento. Os resultados dos estudos de Zokinvy mostraram que este medicamento pode prolongar a vida dos doentes com estas doenças. Os efeitos secundários mais frequentes, como diarreia, náuseas e vómitos, ocorreram principalmente nos primeiros 4 meses de tratamento e foram controláveis.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Zokinvy são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE em circunstâncias excecionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Zokinvy devido à raridade da doença.

A Agência Europeia de Medicamentos procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre Zokinvy?

Dado que Zokinvy foi autorizado em circunstâncias excecionais, a empresa que comercializa Zokinvy irá fornecer dados de um registo de doentes tratados com o medicamento para avaliar melhor a segurança e eficácia de Zokinvy, bem como a qualidade de vida dos doentes.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Zokinvy?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Zokinvy.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Zokinvy são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Zokinvy são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Zokinvy

Mais informações sobre Zokinvy podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy