



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnib*)

Prezentare generală a Zokinvy și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Zokinvy și pentru ce se utilizează?

Zokinvy este un medicament utilizat pentru tratarea pacienților cu vârsta de cel puțin 12 luni cu următoarele boli rare în care caracteristici asemănătoare îmbătrânirii apar în timpul copilăriei:

- sindromul Hutchinson-Gilford (progeria);
- laminopatii progeroide deficiente în procesare.

Bolile pentru care se utilizează Zokinvy sunt rare, iar Zokinvy a fost desemnat „medicament orfan” la [14 decembrie 2018](#) pentru sindromul Hutchinson-Gilford (progeria).

Zokinvy conține substanța activă lonafarnib.

Cum se utilizează Zokinvy?

Zokinvy se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat de medici cu experiență în tratarea pacienților cu îmbătrânire prematură sau afecțiuni metabolice rare.

Zokinvy este disponibil sub formă de capsule, care se administrează de două ori pe zi, în timpul mesei. Doza zilnică inițială (care variază între 75 și 225 mg) depinde de înălțimea și greutatea pacientului. După 4 luni de tratament, pacientul poate începe să ia o doză (de întreținere) mai mare.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Zokinvy, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Zokinvy?

Pacienții cu sindromul Hutchinson-Gilford (progeria) și cu laminopatii progeroide deficiente în procesare au o acumulare de forme anormale de progerină sau de proteine asemănătoare progerinei, care cauzează deteriorarea celulelor și duce la simptome de îmbătrânire prematură. Zokinvy împiedică o reacție chimică implicată în formarea acestor proteine anormale, ajutând astfel la ameliorarea simptomelor bolilor.

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



Ce beneficii a prezentat Zokinvy pe parcursul studiilor?

Două studii principale au demonstrat că Zokinvy prelungeste viața pacienților cu sindromul Hutchinson-Gilford (progeria) și cu laminopatii progeroide deficiente în procesare. Studiile au cuprins 62 de pacienți cărora li s-a administrat Zokinvy. La trei ani de la începerea tratamentului exclusiv cu Zokinvy, pacienții trăiseră mai mult cu între 2,5 luni și aproximativ 6 luni decât cei 62 de pacienți care nu au participat la studii și cărora nu li s-a administrat Zokinvy. La momentul ultimei monitorizări (la aproximativ 11 ani de la începerea tratamentului), pacienții care au primit Zokinvy (și, eventual, alte tratamente) trăiseră în medie cu 4,3 ani mai mult decât pacienții netratați. Cu toate acestea, având în vedere datele limitate disponibile, prelungirea duratei de viață ar putea fi de doar 2,6 ani.

Care sunt riscurile asociate cu Zokinvy?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Zokinvy (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt vărsături, diaree, valori mari ale enzimelor hepatice, scăderea poftei de mâncare, greață, dureri abdominale, oboseală, scădere în greutate, constipație și infecții ale căilor respiratorii superioare (infecții la nivelul nasului și gâtului).

Cele mai frecvente reacții adverse grave asociate cu Zokinvy (care pot afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt valori mari ale enzimelor hepatice, ischemie cerebrală (reducerea vascularizării creierului), febră și deshidratare.

De ce a fost autorizat Zokinvy în UE?

La momentul autorizării Zokinvy nu existau alte medicamente pentru tratarea sindromului Hutchinson-Gilford (progeria) și a laminopatiilor progeroide deficiente în procesare. Rezultatele studiilor cu Zokinvy au demonstrat că acest medicament poate prelungi durata de viață a pacienților cu astfel de afecțiuni. Cele mai frecvente reacții adverse, precum diareea, greața și vărsăturile, au apărut în principal în primele 4 luni de tratament și au fost gestionabile.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Zokinvy sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Zokinvy.

În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza informațiile nou apărute, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Zokinvy?

Având în vedere că Zokinvy a fost autorizat în condiții excepționale, compania care comercializează Zokinvy va furniza date dintr-un registru al pacienților tratați cu acest medicament pentru a evalua în continuare siguranța și eficacitatea Zokinvy, precum și calitatea vieții pacienților.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Zokinvy?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Zokinvy, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Zokinvy sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Zokinvy sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Zokinvy

Informații suplimentare cu privire la Zokinvy sunt disponibile pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy