



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnib*)

Prehľad o lieku Zokinvy a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Zokinvy a na čo sa používa?

Zokinvy je liek, ktorý sa používa na liečbu pacientov vo veku 12 mesiacov a starších, ktorí sú postihnutí týmito zriedkavými chorobami, pri ktorých sa v detstve objavujú znaky pripomínajúce starnutie:

- Hutchinsonov-Gilfordov syndróm progérie,
- progeroidné laminopatie s chybným spracovaním.

Ochorenia, na ktorých liečbu sa liek Zokinvy používa, sú zriedkavé, a preto bol liek Zokinvy [14. decembra 2018](#) označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia pre Hutchinsonov-Gilfordov syndróm progérie.

Liek Zokinvy obsahuje liečivo lonafarnib.

Ako sa liek Zokinvy užíva?

Výdaj lieku Zokinvy je viazaný na lekársky predpis a liečbu majú začať lekári, ktorí majú skúsenosti s liečbou pacientov s predčasným starnutím alebo so zriedkavými metabolickými ochoreniami.

Liek Zokinvy je k dispozícii vo forme kapsúl, ktoré sa užívajú s jedlom dvakrát denne. Začiatočná denná dávka (v rozsahu 75 až 225 mg) závisí od výšky a hmotnosti pacienta. Po štyroch mesiacoch liečby môže pacient začať užívať vyššiu (udržiavaciu) dávku.

Viac informácií o používaní lieku Zokinvy si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

Akým spôsobom liek Zokinvy účinkuje?

U pacientov s Hutchinsonovým-Gilfordovým syndrómom progérie a s progeroidnými laminopatiami s chybným spracovaním sa hromadia abnormálne formy progerínu alebo proteínov podobných progerínu, čo spôsobuje poškodenie buniek a príznaky starnutia v skorom veku. Liek Zokinvy bráni chemickej reakcii, ktorá sa podieľa na tvorbe týchto abnormálnych proteínov, čo pomáha zmierniť príznaky ochorení.

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



Aké prínosy lieku Zokinvy boli preukázané v štúdiách?

V dvoch hlavných štúdiách sa preukázalo, že liek Zokinvy predlžuje život pacientov s Hutchinsonovým-Gilfordovým syndrómom progérie a progeroidnými laminopatiami s chybným spracovaním. Na štúdiách sa zúčastnilo 62 pacientov, ktorí dostávali liek Zokinvy. Tri roky po začatí liečby liekom Zokinvy pacienti žili o 2,5 mesiaca a asi o pol roka dlhšie ako 62 pacientov, ktorí sa na štúdiách nezúčastnili a ktorým sa nepodával liek Zokinvy. V čase posledného sledovania (asi 11 rokov po začatí liečby) pacienti, ktorí dostávali liek Zokinvy (a možno aj ďalšiu liečbu), žili priemerne o 4,3 roka dlhšie ako neliečení pacienti. Vzhľadom na obmedzené dostupné údaje je však možné, že liek predlžuje život len o 2,6 roka.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Zokinvy?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Zokinvy (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú vracanie, hnačka, zvýšené hladiny pečeňových enzýmov, znížená chuť do jedla, nauzea, bolesť brucha, únava, úbytok hmotnosti, zápcha a infekcia horných dýchacích ciest (infekcia nosa a hrdla).

Najčastejšie závažné vedľajšie účinky lieku Zokinvy (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú zvýšená hladina pečeňových enzýmov, cerebrálna ischémia (znížené zásobovanie mozgu krvou), horúčka a dehydratácia.

Prečo bol liek Zokinvy povolený v EÚ?

V čase povolenia lieku Zokinvy neboli k dispozícii žiadne iné lieky na liečbu Hutchinsonovho-Gilfordovho syndrómu progérie a progeroidných laminopatií s chybným spracovaním. Z výsledkov štúdií skúmajúcich liek Zokinvy vyplynulo, že tento liek môže predĺžiť život pacientov s týmito ochoreniami. Najčastejšie vedľajšie účinky, ako je hnačka, nauzea a vracanie, sa vyskytovali najmä v prvých štyroch mesiacoch liečby a boli kontrolovateľné.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Zokinvy sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Zokinvy.

Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Zokinvy dosiaľ neboli predložené?

Keďže liek Zokinvy bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek Zokinvy uvádza na trh, predloží údaje z registra pacientov liečených týmto liekom s cieľom ďalej vyhodnotiť bezpečnosť a účinnosť lieku Zokinvy, ako aj kvalitu života pacientov.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Zokinvy?

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Zokinvy boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o užívaní lieku Zokinvy sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Zokinvy sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Zokinvy

Ďalšie informácie o lieku Zokinvy sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy