



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnib*)

Pregled zdravila Zokinvy in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Zokinvy in za kaj se uporablja?

Zokinvy je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov, starih 12 mesecev ali več, z naslednjimi redkimi boleznimi, pri katerih se v otroštvu pojavljajo značilnosti, podobne staranju:

- Hutchinson-Gilfordov sindrom progerije;
- progeroidna laminopatija s pomanjkljivim procesiranjem.

Bolezni, ki se zdravijo z zdravilom Zokinvy, so redke, zato je bilo zdravilo [14. decembra 2018](#) določeno kot „zdravilo sirota“ za zdravljenje Hutchinson-Gilfordovega sindroma progerije.

Zdravilo Zokinvy vsebuje učinkovino lonafarnib.

Kako se zdravilo Zokinvy uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Zokinvy je le na recept, zdravljenje z njim pa morajo uvesti zdravniki, ki imajo izkušnje z zdravljenjem bolnikov s prezgodnjim staranjem ali redkimi presnovnimi boleznimi.

Zdravilo Zokinvy je na voljo v obliki kapsul, ki se jemljejo dvakrat na dan skupaj s hrano. Začetni dnevni odmerek (ki znaša od 75 mg do 225 mg) je odvisen od telesne višine in mase bolnika. Po štirih mesecih zdravljenja lahko bolnik začne jemati večji (vzdrževalni) odmerek.

Za več informacij glede uporabe zdravila Zokinvy glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Zokinvy deluje?

Pri bolnikih s Hutchinson-Gilfordovim sindromom progerije in s progeroidno laminopatijo s pomanjkljivim procesiranjem se kopičijo nenormalne oblike progerina ali progerinu podobnih beljakovin, ki poškodujejo celice in povzročijo simptome staranja v zgodnjem življenjskem obdobju. Zdravilo Zokinvy preprečuje kemijsko reakcijo, povezano z nastajanjem teh nenormalnih beljakovin, in tako prispeva k izboljšanju simptomov bolezni.

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



Kakšne koristi zdravila Zokinvy so se pokazale v študijah?

V dveh glavnih študijah se je pokazalo, da zdravilo Zokinvy podaljša življenje bolnikov s Hutchinson-Gilfordovim sindromom progerije in s progeroidno laminopatijo s pomanjkljivim procesiranjem. V študiji je sodelovalo 62 bolnikov, ki so prejeli zdravilo Zokinvy. Tri leta po začetku zdravljenja so bolniki, ki so prejeli samo zdravilo Zokinvy, živeli od 2,5 meseca do približno pol leta dlje kot 62 bolnikov, ki niso sodelovali v študijah in niso prejeli zdravila Zokinvy. V času zadnjega spremljanja (približno 11 let po začetku zdravljenja) so bolniki, ki so prejeli zdravilo Zokinvy (in morda dodatna zdravljenja), v povprečju živeli 4,3 leta dlje kot nezdravljeni bolniki. Vendar pa je glede na majhno število razpoložljivih podatkov to podaljšanje morda znašalo le 2,6 leta.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Zokinvy?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Zokinvy (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so bruhanje, driska, zvišane vrednosti jetrnih encimov, zmanjšan apetit, slabost, bolečine v trebuhu, utrujenost, izguba telesne mase, zaprtje in okužba zgornjih dihal (okužba nosu in grla).

Najpogostejši resni neželeni učinki zdravila Zokinvy (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 bolnikov) so zvišane vrednosti jetrnih encimov, možganska ishemija (zmanjšan dotok krvi v možgane), povišana telesna temperatura in dehidracija.

Zakaj je bilo zdravilo Zokinvy odobreno v EU?

V času pridobitve dovoljenja za promet z zdravilom Zokinvy ni bilo drugih zdravil za zdravljenje Hutchinson-Gilfordovega sindroma progerije in progeroidne laminopatije s pomanjkljivim procesiranjem. Rezultati študij z zdravilom Zokinvy so pokazali, da lahko to zdravilo podaljša življenje bolnikov s temi boleznimi. Najpogostejši neželeni učinki, kot so driska, slabost in bruhanje, so se pojavili predvsem v prvih štirih mesecih zdravljenja in so bili obvladljivi.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Zokinvy večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu Zokinvy.

Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Zokinvy še pričakujemo?

Ker je zdravilo Zokinvy pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo podjetje, ki ga trži, zagotovilo podatke iz registra bolnikov, ki se zdravijo s tem zdravilom, za nadaljnjo oceno varnosti in učinkovitosti zdravila Zokinvy ter kakovosti življenja bolnikov.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Zokinvy?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Zokinvy upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Zokinvy stalno spremljajo. Domnevni neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Zokinvy, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Zokinvy

Nadaljnje informacije za zdravilo Zokinvy so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy