



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zokinvy (*lonafarnib*)

Sammanfattning av Zokinvy och varför det är godkänt inom EU

Vad är Zokinvy och vad används det för?

Zokinvy är ett läkemedel som används för att behandla patienter från 12 månaders ålder som har följande sällsynta sjukdomar där ålderstecken uppträder under barndomen:

- Hutchinson-Gilfords syndrom
- processing-deficient progeroida laminopatier

De sjukdomar som Zokinvy används för att behandla är sällsynta och Zokinvy klassificerades som sär-läkemedel mot Hutchinson-Gilfords syndrom den [14 december 2018](#).

Zokinvy innehåller den aktiva substansen lonafarnib.

Hur används Zokinvy?

Zokinvy är receptbelagt och behandling ska inledas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med tidigt åldrande eller sällsynta metabola tillstånd.

Zokinvy finns som kapslar som ska tas med mat två gånger om dagen. Den dagliga startdosen (som varierar mellan 75 och 225 mg) beror på patientens längd och vikt. Efter 4 månaders behandling kan patienten börja ta en högre dos (underhållsdos).

För mer information om hur du använder Zokinvy, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Zokinvy?

Patienter med Hutchinson-Gilfords syndrom och med processing-deficient progeroida laminopatier har en ackumulering av onormala former av progerin eller progerinliknande proteiner, vilket orsakar cellskador och leder till symtom på åldrande tidigt i livet. Zokinvy förhindrar en kemisk reaktion som medverkar till att dessa onormala proteiner bildas och hjälper på så sätt till att förbättra sjukdomssymtomen.



Vilka fördelar med Zokinvy har visats i studierna?

Två huvudstudier har visat att Zokinvy förlänger livet för patienter med Hutchinson-Gilfords syndrom och med processing-deficient progeroida laminopatier. I studierna ingick 62 patienter som fick Zokinvy. Tre år efter att behandlingen med enbart Zokinvy hade inletts levde patienterna mellan 2,5 månader och cirka ett halvår längre än de 62 patienter som inte deltog i studierna och inte fick Zokinvy. Vid den senaste uppföljningen (cirka 11 år efter att behandlingen inleddes) levde de patienter som fick Zokinvy (och eventuellt ytterligare behandlingar) i genomsnitt 4,3 år längre än obehandlade patienter. Den extra levnadslängden kan dock, med tanke på de begränsade uppgifter som finns tillgängliga, vara så kort som 2,6 år.

Vilka är riskerna med Zokinvy?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Zokinvy (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är kräkningar, diarré, förhöjda nivåer av leverenzymmer, nedsatt aptit, illamående, buksmärtor, trötthet, viktminskning, förstoppning och övre luftvägsinfektion (infektion i näsa och hals).

De vanligaste allvarliga biverkningarna som orsakas av Zokinvy (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är förhöjda nivåer av leverenzymmer, cerebral ischemi (minskad blodtillförsel till hjärnan), feber och uttorkning.

Varför är Zokinvy godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet av Zokinvy fanns det inga andra läkemedel för behandling av Hutchinson-Gilfords syndrom och processing-deficient progeroida laminopatier. Resultaten från studierna av Zokinvy visade att detta läkemedel kan förlänga livet för patienter med dessa sjukdomar. De vanligaste biverkningarna, såsom diarré, illamående och kräkningar, uppträdde främst under de första 4 månaderna av behandlingen och var hanterbara.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Zokinvy är större än riskerna och att Zokinvy kan godkännas för försäljning i EU enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Zokinvy eftersom sjukdomen är sällsynt.

Europeiska läkemedelsmyndigheten går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Zokinvy saknas för närvarande?

Eftersom Zokinvy har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall" ska företaget som marknadsför Zokinvy lämna in uppgifter från ett register över patienter som behandlats med läkemedlet för att ytterligare utvärdera Zokinvys säkerhet och effekt samt patienternas livskvalitet.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Zokinvy?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Zokinvy har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Zokinvy kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Zokinvy utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienter.

Mer information om Zokinvy

Mer information om Zokinvy finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zokinvy.