



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/431466/2023
EMA/H/C/005475

Voxzogo (*Vosoritid*)

Übersicht über Voxzogo und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Voxzogo und wofür wird es angewendet?

Voxzogo ist ein Arzneimittel zur Behandlung einer Achondroplasie bei Patienten ab einem Alter von 4 Monaten, deren Knochen noch wachsen.

Achondroplasie ist eine Erbkrankheit, die durch eine Mutation (Veränderung) in einem Gen, dem sogenannten Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptor 3 (*FGFR3*), verursacht wird. Die Mutation beeinträchtigt das Wachstum fast aller Knochen im Körper, einschließlich des Schädels, der Wirbelsäule, der Arme und Beine, und führt zu einer unteretzten Statur mit charakteristischer Erscheinung.

Achondroplasie ist selten, und Voxzogo wurde am 24. Januar 2013 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo enthält den Wirkstoff Vosoritid.

Wie wird Voxzogo angewendet?

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung mit Voxzogo muss von einem in der Behandlung von Wachstumsstörungen oder abnormem Knochenwachstum erfahrenen Arzt eingeleitet und überwacht werden.

Voxzogo wird einmal täglich als Injektion unter die Haut gegeben, vorzugsweise etwa zur gleichen Tageszeit. Die Injektionsstelle sollte bei jeder Injektion gewechselt werden. Die empfohlene Dosis wird nach dem Körpergewicht des Patienten berechnet.

Die Behandlung sollte nur eingeleitet werden, wenn eine Achondroplasie durch genetische Tests bestätigt wurde, und beendet werden, wenn der Patient wahrscheinlich nicht weiter wächst.

Nach entsprechender Einweisung können die Patienten Voxzogo-Injektionen von ihrer Betreuungsperson erhalten.

Weitere Informationen zur Anwendung von Voxzogo entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

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



Wie wirkt Voxzogo?

Bei Patienten mit Achondroplasie wird das *FGFR3*-Gen, das das Wachstum reguliert, dauerhaft „eingeschaltet“. Dadurch wird ein normales Knochenwachstum verhindert, sodass Knochen gebildet werden, die kürzer als normal sind. Der Wirkstoff in Voxzogo, Vosoritid, wirkt, indem er an einen Rezeptor (Ziel) bindet, den sogenannten Rezeptor B für natriuretische Peptide (NPR-B), wodurch die Aktivität von *FGFR3* reduziert wird. Dies stimuliert das Knochenwachstum und verbessert dadurch die Krankheitssymptome.

Welchen Nutzen hat Voxzogo in den Studien gezeigt?

In einer Studie mit 121 Kindern im Alter von 5 bis 17 Jahren mit bestätigter Achondroplasie erhöhte Voxzogo die Wachstumsrate nach 52-wöchiger Behandlung wirksamer als Placebo (eine Scheinbehandlung). Die Kinder, die Voxzogo erhielten, wuchsen während des ersten Behandlungsjahres etwa 1,57 cm mehr als die Kinder, die Placebo erhielten. Darüber hinaus lassen die Ergebnisse darauf schließen, dass die Verbesserung des Wachstums aufrechterhalten wird.

In einer zweiten Studie mit 75 Kindern im Alter von 4 Monaten bis unter 5 Jahren mit bestätigter Achondroplasie erhöhte Voxzogo die Wachstumsrate wirksamer als Placebo. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung des Z-Scores der Körpergröße, ein Maß, das die Körpergröße des Patienten mit dem erwarteten Durchschnittswert für sein Alter und Geschlecht vergleicht. Nach einjähriger Behandlung wiesen Kinder, die Voxzogo erhielten, im Durchschnitt eine stärkere Verbesserung des Z-Scores der Körpergröße auf als die Kinder, die Placebo erhielten. Die Kinder, die Voxzogo erhielten, wuchsen während des ersten Behandlungsjahres auch etwa 0,8 cm mehr als die Kinder, die Placebo erhielten.

Welche Risiken sind mit Voxzogo verbunden?

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Voxzogo berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Voxzogo (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Reaktionen an der Injektionsstelle (wie Schwellung, Rötung, Juckreiz oder Schmerzen), Erbrechen und verminderter Blutdruck.

Warum wurde Voxzogo in der EU zugelassen?

Voxzogo erhöht wirksam die Wachstumsrate bei Kindern mit Achondroplasie im Alter ab 4 Monaten. Dies kann die endgültige Körpergröße erhöhen, sodass Personen mit Achondroplasie ihre täglichen Aktivitäten leichter ausführen können. Die Nebenwirkungen des Arzneimittels wurden als beherrschbar erachtet. Das Sicherheitsprofil bei Kindern unter 5 Jahren ist dem bei älteren Kindern ähnlich. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Voxzogo gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Voxzogo ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Voxzogo, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Voxzogo kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Voxzogo werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Voxzogo

Voxzogo erhielt am 26. August 2021 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Voxzogo finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo

Diese Übersicht wurde zuletzt im 10-2023 aktualisiert.