



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (vosoritiid)

Ülevaade ravimist Voxzogo ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Voxzogo ja milleks seda kasutatakse?

Voxzogo on ravim, mida kasutatakse akondroplaasia raviks vähemalt 4-kuustel patsientidel, kellel luud veel kasvavad.

Akondroplaasia (kõhreveaegmoodustus) on pärilik haigus, mida põhjustab fibroblastide kasvufaktori retseptor 3 (*FGFR3*) geeni mutatsioon. Mutatsioon mõjutab peaaegu kõigi organismi luude, sealhulgas kolju, lülisamba, käsivarte ja jalgade kasvu, põhjustades väga lühikest kasvu ja iseloomulikku välimust.

Akondroplaasia esineb harva ja Voxzogo nimetati 24. jaanuaril 2013 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on siin: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo sisaldab toimeainet vosoritiid.

Kuidas Voxzogot kasutatakse?

Voxzogo on retseptiravim. Ravi Voxzogoga peab alustama ja jälgima kasvuhäirete või luude ebanormaalse kasvu ravis kogenud arst.

Voxzogot manustatakse subkutaanse (nahaaluse) süstena üks kord ööpäevas, eelistatavalt ligikaudu samal kellaajal. Iga süst tehakse eri kohta. Soovitatav annus arvutatakse patsiendi kehamassi järgi.

Ravi tohib alustada üksnes siis, kui akondroplaasia on kinnitatud geenitestiga, ning ravi tuleb lõpetada, kui patsiendi edasine kasv ei ole tõenäoline.

Kui patsiendi hooldaja on saanud asjakohase väljaõppe, tohib ta Voxzogot ise süstida.

Lisateavet Voxzogo kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Voxzogo toimib?

Akondroplaasiaga patsientidel on püsivalt n-ö sisse lülitatud kasvu reguleeriv *FGFR3*-geen. See takistab luude normaalset kasvu, mistõttu luud on normaalsest lühemad. Voxzogo toimeaine vosoritiid seondub sihtmärgiks oleva retseptoriga (natriureetilise peptiidi B tüüpi retseptor, NPR-B), mis vähendab *FGFR3* aktiivsust. See stimuleerib luude kasvu, leevendades seeläbi haiguse sümptomeid.

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



Mis on uuringute põhjal Voxzogo kasulikkus?

Uuringus, milles osales 121 kinnitatud akondroplaasiaga 5–17-aastast last, oli Voxzogo 52-nädalase ravi järel kasvukiiruse suurendamisel efektiivsem kui platseebo (näiv ravim). Voxzogot saanud lapsed kasvasid raviaasta jooksul ligikaudu 1,57 cm võrra rohkem kui platseebot saanud lapsed. Lisaks näitavad tulemused, et kasvu paranemine säilib.

Teises uuringus, milles osales 75 kinnitatud akondroplaasiaga last vanuses 4 kuud kuni alla 5 aasta, oli Voxzogo kasvukiiruse suurendamisel platseebost efektiivsem. Efektiivsuse põhinäitaja oli kehapikkuse z-skoori muutus, millega võrreldakse patsiendi pikkust keskmise eeldatava pikkusega vanuse- ja soopõhiselt. Pärast üheaastast ravi paranes Voxzogot saanud lastel pikkuse z-skoor keskmiselt rohkem kui platseebot saanud lastel. Samuti kasvasid Voxzogot saanud lapsed raviaasta jooksul ligikaudu 0,8 cm võrra rohkem kui platseebot saanud lapsed.

Mis on Voxzogo riskid?

Voxzogo kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Voxzogo kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on süstekoha reaktsioonid (nt turse, punetus, sügelus või valu), oksendamine ja madal vererõhk.

Miks Voxzogo ELis heaks kiideti?

Voxzogo on efektiivne 4-kuuste ja vanemate akondroplaasiaga laste kasvukiiruse suurendamisel. See võib suurendada lõplikku pikkust, võimaldades akondroplaasiaga isikutel teha argitoiminguid kergemini. Ravimi kõrvalnähte peetakse vastuvõetavaks. Alla 5-aastaste laste ohutusprofiil on sarnane vanemate laste ohutusprofiiliga. Euroopa Raviamet otsustas, et Voxzogo kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Voxzogo ohutu ja efektiivne kasutamine?

Voxzogo ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Voxzogo kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Voxzogo kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Voxzogo kohta

Voxzogo on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 26. augustil 2021.

Lisateave Voxzogo kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo

Kokkuvõtte viimane uuendus: 10-2023.