



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (vosoritīds)

Voxzogo pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Voxzogo un kāpēc tās lieto?

Voxzogo ir zāles, ko lieto, lai ārstētu ahondroplāziju pacientiem no četrus mēnešu vecuma, kuriem kauli joprojām aug.

Ahondroplāzija ir iedzimta slimība, ko izraisa mutācija (izmaiņas) gēnā, kuru dēvē par fibroblastu augšanas faktora receptoru 3 (FGFR3). Mutācija ietekmē gandrīz visu kaulu, tostarp galvaskausa, mugurkaula, roku un kāju, augšanu, kā rezultātā izveidojas ļoti īss augums ar raksturīgu izskatu.

Ahondroplāzija ir reta slimība, un 2013. gada 24. janvārī Voxzogo tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo satur aktīvo vielu vosoritīdu.

Kā lieto Voxzogo?

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti. Ārstēšana ar Voxzogo ir jāsāk un jāuzrauga ārstam, kuram ir pieredze augšanas traucējumu vai kaulu patoloģiskas augšanas ārstēšanā.

Voxzogo tiek injicētas zem ādas vienreiz dienā, vēlams aptuveni vienā un tajā pašā laikā. Injekcijas vieta jāmaina katrai injekcijai. Ieteicamo devu aprēķina atbilstoši pacienta ķermeņa masai.

Ārstēšanu drīkst sākt tikai pēc ahondroplāzijas apstiprināšanas ar ģenētisku testēšanu, un tā ir jāpārtrauc, ja pacientam vairs nav iespējama tālāka augšana.

Pēc attiecīgas apmācības pacienta aprūpētājs var veikt Voxzogo injekcijas.

Papildu informāciju par Voxzogo lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā Voxzogo darbojas?

Pacientiem ar ahondroplāziju FGFR3 gēns, kas regulē augšanu, ir pastāvīgi "ieslēgts". Tas novērš kaulu normālu augšanu, kā rezultātā kauli ir īsāki nekā parasti. Voxzogo aktīvā viela vosoritīds darbojas, piesaistoties receptoram (mērķim), ko dēvē par natriurētisko peptīdu receptoru B tipu (NPR-B) un kas samazina FGFR3 aktivitāti. Tas stimulē kaulu augšanu, tādējādi uzlabojot slimības simptomus.

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



Kādi *Voxzogo* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pētījumā, kurā piedalījās 121 bērns vecumā no 5 līdz 17 gadiem ar apstiprinātu ahondroplāziju, *Voxzogo* bija efektīvākas nekā placebo (zāļu imitācija), palielinot augšanas ātrumu pēc 52 ārstēšanas nedēļām. Bērni, kuri saņēma *Voxzogo*, ārstēšanas gada laikā pieauga par aptuveni 1,57 cm vairāk nekā placebo saņēmušie bērni. Turklāt rezultāti ļauj secināt, ka augšanas uzlabošanās saglabājas.

Voxzogo efektīvāk nekā placebo palielināja augšanas ātrumu otrajā pētījumā, iesaistot 75 bērnus vecumā no četriem mēnešiem līdz pieciem gadiem ar apstiprinātu ahondroplāziju. Galvenais efektivitātes rādītājs bija izmaiņas auguma Z skalā, kas ir rādītājs, kurā pacienta augums tiek salīdzināts ar vidējo viņa vecuma un dzimuma grupai paredzamo augumu. Pēc vienu gadu ilgas ārstēšanas bērniem, kuri saņēma *Voxzogo*, vidējais auguma Z skalas uzlabojums bija lielāks nekā tiem, kuri saņēma placebo. Bērni, kuri saņēma *Voxzogo*, viena ārstēšanas gada laikā arī izauga par aptuveni 0,8 cm vairāk nekā tie, kuri saņēma placebo.

Kāds risks pastāv, lietojot *Voxzogo*?

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Voxzogo*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Voxzogo* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir reakcijas injekcijas vietā (piemēram, pietūkums, apsārtums, nieze vai sāpes), vemšana un pazemināts asinsspiediens.

Kāpēc *Voxzogo* ir reģistrētas ES?

Voxzogo efektīvi palielina augšanas rādītājus bērniem no četriem mēnešu vecuma ar ahondroplāziju. Tas var palielināt galīgo augumu un ļaut personām ar ahondroplāzi vieglāk veikt ikdienas darbības. Zāļu blakusparādības tiek uzskatītas par kontrolējamām. Drošuma profils bērniem, kas jaunāki par pieciem gadiem, ir līdzīgs drošuma profilam gados vecākiem bērniem. Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Voxzogo*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Voxzogo* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Voxzogo* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Voxzogo* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Voxzogo* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Voxzogo*

2021. gada 26. augustā *Voxzogo* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Voxzogo* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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

Šis pārskats pēdējo reizi atjaunināts 2023. gada oktobrī.