



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*vosoritid*)

Pregled zdravila Voxzogo in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Voxzogo in za kaj se uporablja?

Voxzogo je zdravilo za zdravljenje ahondroplazije pri bolnikih, starih štiri mesece ali več, ki jim kosti še vedno rastejo.

Ahondroplazija je dedna bolezen, ki jo povzroča mutacija (sprememba) gena, imenovanega receptor fibroblastnega rastnega faktorja 3 (FGFR3). Ta mutacija vpliva na rast skoraj vseh kosti v telesu, vključno z lobanjo, hrbtenico, kostmi rok in nog, kar povzroča postavo nizke rasti z značilnim videzom.

Ahondroplazija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Voxzogo 24. januarja 2013 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na spletni strani agencije EMA: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Zdravilo Voxzogo vsebuje učinkovino vosoritid.

Kako se zdravilo Voxzogo uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept. Zdravljenje z zdravilom Voxzogo mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem motenj rasti ali nenormalne rasti kosti.

Zdravilo Voxzogo se daje z injiciranjem v podkožje enkrat na dan, po možnosti ob približno istem času. Mesto injiciranja je treba pri vsakem injiciranju menjati. Priporočeni odmerek se izračuna na podlagi bolnikove telesne mase.

Zdravljenje se lahko začne šele, ko se z genetskim testiranjem potrdi ahondroplazija, in ga je treba ustaviti, ko pri bolniku ni več možnosti za nadaljnjo rast.

Injekcije zdravila Voxzogo lahko po ustreznem usposabljanju injicira bolnikov negovalec.

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

Kako zdravilo Voxzogo deluje?

Pri bolnikih z ahondroplazijo je gen za receptor *FGFR3*, ki uravnava rast, trajno „aktiviran“. To preprečuje normalno rast kosti, zaradi česar so kosti krajše od normalnih. Učinkovina v zdravilu Voxzogo, vosoritid, deluje tako, da se veže na receptor (prijemališče), imenovan natriuretični

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



peptidni receptor tipa B (NPR-B), ki zmanjša delovanje gena za receptor *FGFR3*. To spodbuja rast kosti in s tem izboljšuje simptome bolezni.

Kakšne koristi zdravila Voxzogo so se pokazale v študijah?

V študiji, v katero je bilo vključenih 121 otrok s potrjeno ahondroplazijo, starih od 5 do 17 let, je bilo zdravilo Voxzogo pri povečevanju hitrosti rasti po 52 tednih zdravljenja učinkovitejše od placeba (zdravila brez učinkovine). Otroci, ki so prejeli zdravilo Voxzogo, so v letu zdravljenja zrasli za približno 1,57 cm več kot otroci, ki so prejeli placebo. Rezultati kažejo tudi, da se rast še naprej izboljšuje.

V drugi študiji, v katero je bilo vključenih 75 otrok s potrjeno ahondroplazijo, starih od 4 mesece do manj kot 5 let, je bilo zdravilo Voxzogo pri povečevanju hitrosti rasti učinkovitejše od placeba. Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba Z-vrednosti višine, tj. merila, s katerim se primerja telesna višina bolnika s pričakovanim povprečjem za njegovo starost in spol. Po enem letu zdravljenja se je pri otrocih, ki so prejeli zdravilo Voxzogo, Z-vrednost višine v povprečju izboljšala bolj kot pri otrocih, ki so prejeli placebo. Otroci, ki so prejeli zdravilo Voxzogo, so v letu zdravljenja tudi zrasli za približno 0,8 cm več kot otroci, ki so prejeli placebo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Voxzogo?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Voxzogo glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Voxzogo (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so reakcije na mestu injiciranja (kot so otekanje, rdečina, srbenje ali bolečina), bruhanje in znižan krvni tlak.

Zakaj je bilo zdravilo Voxzogo odobreno v EU?

Zdravilo Voxzogo učinkovito povečuje hitrost rasti pri otrocih z ahondroplazijo, starih 4 mesece ali več. To lahko poveča končno telesno višino, kar osebam z ahondroplazijo omogoča lažje opravljanje vsakodnevnih dejavnosti. Neželeni učinki zdravila se štejejo za obvladljive. Varnostni profil pri otrocih, mlajših od 5 let, je podoben kot pri starejših otrocih. Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Voxzogo večje od z njim povezanih tveganj in se lahko odobri za uporabo v EU.

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

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Voxzogo 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 Voxzogo stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Voxzogo, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Voxzogo

Za zdravilo Voxzogo je bilo 26. avgusta 2021 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Voxzogo so na voljo na spletni strani agencije:

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

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 10-2023.