



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*vosoritid*)

Sammanfattning av Voxzogo och varför det är godkänt inom EU

Vad är Voxzogo och vad används det för?

Voxzogo är ett läkemedel som används för behandling av akondroplasi hos patienter från 4 månaders ålder vars skelett fortfarande växer.

Akondroplasi är en ärftlig sjukdom som orsakas av en mutation (förändring) i en gen som kallas fibroblasttillväxtfaktorreceptor 3 (*FGFR3*). Mutationen påverkar tillväxten i nästan alla ben i kroppen, däribland skalle, ryggrad, armar och ben, vilket leder till kortvuxenhet med ett karaktäristiskt utseende.

Akondroplasi är sällsynt och Voxzogo klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 24 januari 2013. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo innehåller den aktiva substansen vosoritid.

Hur används Voxzogo?

Läkemedlet är receptbelagt. Behandling med Voxzogo måste inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av behandling av tillväxtrubbningar eller onormal bentillväxt.

Voxzogo ges som en injektion under huden en gång om dagen, helst vid samma tidpunkt på dagen. Ett nytt injektionsställe ska väljas för varje injektion. Den rekommenderade dosen beräknas efter patientens kroppsvikt.

Behandling ska endast påbörjas efter att akondroplasi har bekräftats med genetiska tester och ska avslutas när patienten troligen inte kommer att växa mer.

Injektioner med Voxzogo kan ges av patienternas vårdgivare efter att de har instruerats på lämpligt sätt.

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

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



Hur verkar Voxzogo?

Hos patienter med akondroplasi är *FGFR3*-genen, som reglerar tillväxten, permanent aktiverad. Detta förhindrar normal bentillväxt, vilket leder till att skelettet blir kortare än normalt. Den aktiva substansen i Voxzogo, vosoritid, verkar genom att binda till receptorn (målet) natriuretisk peptidreceptor B (NPR-B), vilket hämmar *FGFR3*-genens aktivitet. Detta stimulerar bentillväxten och förbättrar sjukdomssymtomen.

Vilka fördelar med Voxzogo har visats i studierna?

Voxzogo var effektivare än placebo (overksam behandling) när det gällde att öka tillväxthastigheten efter 52 veckors behandling i en studie på 121 barn i åldern 5–17 år med bekräftad akondroplasi. Barn som fick Voxzogo växte cirka 1,57 cm mer under behandlingsåret än de som fick placebo. Dessutom tyder resultaten på att förbättringen av tillväxten bibehålls.

Voxzogo var effektivare än placebo när det gällde att öka tillväxthastigheten i en andra studie på 75 barn i åldrar från 4 månader och upp till under 5 år med bekräftad akondroplasi. Huvudeffektåtgärden var förändring av Z-poängen för längd, ett mått som jämför patientens längd med det förväntade medelvärdet för hans eller hennes ålder och kön. Efter ett års behandling hade barnen som fick Voxzogo i genomsnitt större förbättringar av Z-poängen för längd än de som fick placebo. Under behandlingsåret växte barnen som fick Voxzogo också cirka 0,8 cm mer än de som fick placebo.

Vilka är riskerna med Voxzogo?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Voxzogo finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Voxzogo (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är reaktioner på injektionsstället (t.ex. svullnad, rodnad, klåda eller smärta), kräkningar och sänkt blodtryck.

Varför är Voxzogo godkänt i EU?

Voxzogo är effektivt när det gäller att öka tillväxttakten hos barn med akondroplasi i åldern 4 månader och äldre. Detta kan öka den slutliga längden och göra det lättare för personer med akondroplasi att utföra dagliga aktiviteter. Läkemedlets biverkningar anses vara hanterbara. Säkerhetsprofilen för barn under 5 år liknar den för äldre barn. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Voxzogo är större än riskerna och att Voxzogo kan godkännas för försäljning i EU.

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

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

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

Mer information om Voxzogo

Den 26 augusti 2021 beviljades Voxzogo ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 10-2023.