



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*vozoritid*)

Přehled pro přípravek Voxzogo a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Voxzogo a k čemu se používá?

Voxzogo je léčivý přípravek k léčbě achondroplazie u pacientů ve věku od 4 měsíců, jejichž kosti dosud rostou.

Achondroplazie je dědičné onemocnění způsobené mutací (změnou) v genu zvaném receptor 3 fibroblastového růstového faktoru (*FGFR3*). Tato mutace ovlivňuje růst téměř všech kostí v těle, včetně lebky, páteře a kostí paží a nohou, což vede k velmi malému vzrůstu a charakteristickému vzhledu.

Achondroplazie je vzácné onemocnění a přípravek Voxzogo byl označen dne 24. ledna 2013 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Přípravek Voxzogo obsahuje léčivou látku vozoritid.

Jak se přípravek Voxzogo používá?

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčbu přípravkem Voxzogo musí zahájit a dohlížet na ni lékař, který má zkušenosti s léčbou poruch růstu nebo abnormálního růstu kostí.

Přípravek Voxzogo se podává formou injekce pod kůži jednou denně, pokud možno přibližně ve stejnou dobu. Při každém podání injekce je třeba změnit místo vpichu. Doporučená dávka se vypočítá na základě tělesné hmotnosti pacienta.

Léčba by měla být zahájena pouze tehdy, pokud je achondroplazie potvrzena genetickým vyšetřením, a měla by být ukončena, pokud není pravděpodobné, že pacient dále poroste.

Po patřičném zaškolení může pacientovi podávat injekce přípravku Voxzogo poskytovatel péče.

Více informací o používání přípravku Voxzogo naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Voxzogo působí?

U pacientů s achondroplazií je gen *FGFR3*, který reguluje růst, trvale „aktivovaný“. To brání normálnímu růstu kostí, což vede k tomu, že kosti jsou kratší, než je obvyklé. Léčivá látka v přípravku Voxzogo, vozoritid, působí tak, že se naváže na receptor (cíl) zvaný receptor typu B natriuretického

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



peptidu (NPR-B), který omezuje působení genu *FGFR3*. To stimuluje růst kostí, čímž se zmírňují příznaky onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Voxzogo byly prokázány v průběhu studií?

Ve studii, do které bylo zařazeno 121 dětí ve věku od 5 do 17 let s potvrzenou achondroplazií, byl přípravek Voxzogo v rámci zvyšování rychlosti růstu po 52 týdnech léčby účinnější než placebo (neúčinný přípravek). Děti léčené přípravkem Voxzogo vyrostly během jednoho roku léčby přibližně o 1,57 cm více než děti, kterým bylo podáváno placebo. Z výsledků navíc vyplývá, že zvýšení rychlosti růstu přetrvává.

Ve druhé studii, do které bylo zařazeno 75 dětí ve věku od 4 měsíců do 5 let s potvrzenou achondroplazií, byl přípravek Voxzogo v rámci zvyšování rychlosti růstu účinnější než placebo. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna Z-skóre výšky, což je ukazatel, který porovnává výšku pacienta s průměrnou výškou očekávanou u osob daného věku a pohlaví. Po jednom roce léčby vykazovaly děti, kterým byl podáván přípravek Voxzogo, v průměru větší zlepšení Z-skóre výšky než děti, kterým bylo podáváno placebo. Děti léčené přípravkem Voxzogo také vyrostly během jednoho roku léčby přibližně o 0,8 cm více než děti, kterým bylo podáváno placebo.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Voxzogo?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Voxzogo je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Voxzogo (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou reakce v místě injekce (jako je otok, zarudnutí, svědění nebo bolest), zvracení a snížený krevní tlak.

Na základě čeho byl přípravek Voxzogo registrován v EU?

Přípravek Voxzogo je účinný v rámci zvyšování rychlosti růstu u dětí ve věku od 4 měsíců s achondroplazií. To může zvýšit konečnou výšku a umožnit osobám s achondroplazií snadněji vykonávat každodenní činnosti. Nežádoucí účinky tohoto přípravku jsou považovány za zvladatelné. Bezpečnostní profil u dětí mladších 5 let je podobný jako u starších dětí. Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Voxzogo převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Voxzogo?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Voxzogo, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Voxzogo průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Voxzogo jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Voxzogo

Přípravku Voxzogo bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 26. srpna 2021.

Další informace o přípravku Voxzogo jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 10-2023.