



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*vosoritid*)

Pregled informacija o lijeku Voxzogo i zašto je odobren u EU-u

Što je Voxzogo i za što se koristi?

Voxzogo je lijek za liječenje ahondroplazije u bolesnika u dobi od 4 mjeseca i starijih u kojih kosti još uvijek rastu.

Ahondroplazija je nasljedna bolest koju uzrokuje mutacija (promjena) u genu zvanom receptor čimbenika rasta fibroblasta 3 (*FGFR3*). Mutacija utječe na rast gotovo svih kostiju u tijelu uključujući kosti lubanje, kralježnice, ruku i nogu, a rezultat toga je vrlo nizak rast i karakterističan izgled.

Ahondroplazija je rijetka bolest, a lijek Voxzogo dobio je status lijeka za rijetku bolest 24. siječnja 2013. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je ovdje: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo sadrži djelatnu tvar vosoritid.

Kako se Voxzogo primjenjuje?

Lijek se izdaje samo na recept. Terapiju lijekom Voxzogo mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju poremećaja rasta ili abnormalnog rasta kostiju.

Voxzogo se daje kao injekcija pod kožu jednom dnevno, po mogućnosti otprilike u isto doba dana. Mjesto primjene injekcije potrebno je promijeniti pri svakoj injekciji. Preporučena doza izračunava se prema tjelesnoj težini bolesnika.

S liječenjem se smije započeti tek kad je ahondroplazija potvrđena genetskim testiranjem, a završiti ga treba kada nije vjerojatno da će bolesnik dalje rasti.

Nakon odgovarajuće obuke, injekcije lijeka Voxzogo može davati i njegovatelj bolesnika.

Za više informacija o primjeni lijeka Voxzogo pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Voxzogo?

U bolesnika s ahondroplazijom gen *FGFR3*, koji regulira rast, trajno je „uključen”. Time se sprječava normalan rast kostiju, čija je posljedica da su kosti kraće nego što je normalno. Djelatna tvar u lijeku Voxzogo, vosoritid, djeluje vezivanjem na receptor (ciljno mjesto) naziva receptor B za natriuretičke

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



peptide (NPR-B), koji smanjuje aktivnost gena *FGFR3*. To potiče rast kostiju, čime se ublažavaju simptomi bolesti.

Koje su koristi od lijeka Voxzogo utvrđene u ispitivanjima?

U ispitivanju koje je obuhvatilo 121 dijete u dobi od 5 do 17 godina s potvrđenom ahondroplazijom, lijek Voxzogo bio je učinkovitiji od placeba (prividnog liječenja) u povećanju stope rasta nakon 52 tjedna liječenja. Djeca koja su primala lijek Voxzogo rasla su tijekom godine liječenja oko 1,57 cm više od djece koja su primala placebo. Osim toga, rezultati upućuju na to da se rast i dalje poboljšava.

Lijek Voxzogo bio je djelotvorniji od placeba u povećanju stope tjelesnog rasta u drugom ispitivanju koje je obuhvatilo 75-ero djece u dobi od 4 mjeseca do manje od 5 godina s potvrđenom ahondroplazijom. Glavno mjerilo djelotvornosti bila je promjena Z-vrijednosti za visinu, mjere kojom se visina bolesnika uspoređuje s očekivanim prosjekom za njegovu dob i spol. Nakon godinu dana liječenja, u djece koja su primala lijek Voxzogo u prosjeku je zabilježeno veće poboljšanje Z-vrijednosti za visinu u odnosu na djecu koja su primala placebo. Djeca koja su primala lijek Voxzogo također su tijekom jedne godine liječenja rasla oko 0,8 cm više od djece koja su primala placebo.

Koji su rizici povezani s lijekom Voxzogo?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Voxzogo potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Voxzogo (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu reakcije na mjestu primjene injekcije (kao što su oticanje, crvenilo, svrbež ili bol), povraćanje i nizak krvni tlak.

Zašto je lijek Voxzogo odobren u EU-u?

Lijek Voxzogo djelotvoran je u povećanju stope rasta u djece s ahondroplazijom u dobi od 4 mjeseca i starije. To može povećati konačnu visinu i omogućiti osobama s ahondroplazijom da lakše obavljaju svakodnevne aktivnosti. Smatra se da je nuspojave lijeka moguće kontrolirati. Sigurnosni profil u djece mlađe od 5 godina sličan je onom u starije djece. Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Voxzogo nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Voxzogo?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Voxzogo nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Voxzogo kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Voxzogo pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Voxzogo

Za lijek Voxzogo izdano je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 26. kolovoza 2021.

Više informacija o lijeku Voxzogo dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:

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

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 10. 2023.