



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*vosoritidas*)

Voxzogo apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Voxzogo ir kam jis vartojamas?

Voxzogo – tai vaistas, kuriuo gydomi achondroplazija sergantys 4 mėnesių ir vyresni pacientai, kurių kaulai vis dar auga.

Achondroplazija yra paveldima liga, kurią sukelia geno, vadinamo fibroblastų augimo faktoriaus receptoriumi 3 (*FGFR3*), mutacija (pakitimas). Ši mutacija turi įtakos beveik visų kūno kaulų, įskaitant kaukolę, stuburą, rankas ir kojas, augimui, todėl žmogus būna labai žemo ūgio ir pasižymi tam tikrais išvaizdos požymiais.

Achondroplazija laikoma reta liga, todėl 2013 m. sausio 24 d. Voxzogo buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti čia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo sudėtyje yra veikliosios medžiagos vosoritido.

Kaip vartoti Voxzogo?

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydymą Voxzogo turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis augimo sutrikimų arba nenormalaus kaulų augimo gydymo patirties.

Voxzogo švirkščiamas po oda kartą per parą, geriausia maždaug tuo pačiu paros metu. Injekcijos atliekamos kaskart kitoje vietoje. Rekomenduojama dozė apskaičiuojama pagal paciento kūno svorį.

Gydymą galima pradėti tik tada, kai achondroplazija patvirtinama genetiniais tyrimais; jis baigiamas, kai nebesitikima, kad pacientas toliau augs.

Voxzogo injekcijas gali atlikti tinkamai sušvirkšti vaistą išmokyti pacientų slaugytojai.

Daugiau informacijos apie Voxzogo vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Voxzogo?

Achondroplazija sergančių pacientų organizme augimą reguliuojantis genas *FGFR3* yra nuolat aktyvus. Tai neleidžia kaulams normaliai augti; dėl to kaulai tampa trumpesni nei įprasta. Veiklioji Voxzogo medžiaga vosoritidas jungiasi prie receptoriaus (taikinio), vadinamo B tipo natriuretinio peptido

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



receptoriumi (NPR-B), kuris mažina *FGFR3* aktyvumą. Taip skatinamas kaulų augimas ir malšinami ligos simptomai.

Kokia Voxzogo nauda nustatyta tyrimų metu?

Atliekant tyrimą su 121 vaiku nuo 5–17 metų amžiaus, kuriems buvo patvirtinta achondroplazija, po 52 gydymo savaičių nustatyta, kad Voxzogo yra veiksmingesnis už placebą (netikrą vaistą) siekiant paspartinti augimą. Per vienus gydymo metus Voxzogo vartoję vaikai paaugo maždaug 1,57 cm daugiau nei vartojusieji placebą. Be to, rezultatai rodo, kad augimas ir nesustoja.

Atliekant antrą tyrimą, kuriame dalyvavo 75 vaikai nuo 4 mėnesių iki mažiau nei 5 metų amžiaus, kuriems buvo patvirtinta achondroplazija, nustatyta, kad Voxzogo yra veiksmingesnis už placebą siekiant paspartinti augimą. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo ūgio pokyčio Z-įvertis – rodiklis, pagal kurį paciento ūgis palyginamas su vidutiniu numatytu atitinkamo amžiaus ir lyties žmogaus ūgiu. Po vieno gydymo metų vaikų, kurie vartojo Voxzogo, ūgio Z-įvertis vidutiniškai buvo padidėjęs labiau nei vartojusiųjų placebą. Be to, per vienus gydymo metus Voxzogo vartoję vaikai paaugo maždaug 0,8 cm daugiau nei vartojusieji placebą.

Kokia rizika susijusi su Voxzogo vartojimu?

Išsamų visų Voxzogo šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Voxzogo šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra reakcijos injekcijos vietoje (kaip antai patinimas, paraudimas, niežėjimas arba skausmas), vėmimas ir sumažėjęs kraujospūdis.

Kodėl Voxzogo buvo registruotas ES?

Voxzogo yra veiksmingas siekiant paspartinti 4 mėnesių ir vyresnių achondroplazija sergančių vaikų augimą. Dėl tokio poveikio galutinis achondroplazija sergančių asmenų ūgis gali būti didesnis ir jiems yra paprasčiau atlikti kasdienes darbus. Laikomasi nuomonės, kad šio vaisto šalutinį poveikį galima kontroliuoti. Vaisto saugumo charakteristikos gydant jaunesnius nei 5 metų vaikus yra panašūs, kaip gydant vyresnius vaikus. Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Voxzogo nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Voxzogo vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Voxzogo vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Voxzogo vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Voxzogo šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Voxzogo

Voxzogo buvo registruotas visoje ES 2021 m. rugpjūčio 26 d.

Daugiau informacijos apie Voxzogo rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2023-10.