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

Voxzogo (*vosoritide*)

Ħarsa ġenerali lejn Voxzogo u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Voxzogo u għal xiex jintuża?

Voxzogo huwa mediċina għat-trattament ta' akondroplażja f'pazjenti minn 4 xhur 'il fuq li l-għadam tagħhom għadu qed jikber.

L-akondroplażja hija marda li tintiret ikkawżata minn mutazzjoni (bidla) f'ġene msejjaħ riċettur 3 tal-fattur tat-tkabbir tal-fibroblasta (*FGFR3*). Il-mutazzjoni taffettwa t-tkabbir ta' kważi l-għadam kollu fil-ġisem inklużi l-kranju, is-sinsla tad-dahar, id-dirgħajn u r-riġlejn, u dan jirriżulta fi statura qasira ħafna b'dehra karatteristika.

L-akondroplażja hija rari, u Voxzogo ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fl-24 ta' Jannar 2013. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo fih is-sustanza attiva vosoritide.

Kif jintuża Voxzogo?

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. It-trattament b'Voxzogo għandu jinbeda u jkun taħt is-superviżjoni ta' tabib b'esperjenza fit-trattament ta' disturbi fit-tkabbir jew ta' tkabbir anormali tal-għadam.

Voxzogo jingħata bħala injezzjoni taħt il-ġilda darba kuljum, preferibbilment fl-istess ħin tal-ġurnata. Is-sit tal-injezzjoni jenħtieġ jinbidel ma' kull injezzjoni. Id-doża rakkomandata hija kkalkulata skont il-piż tal-ġisem tal-pazjent.

It-trattament għandu jinbeda biss meta l-akondroplażja tiġi kkonfermata permezz ta' ttestjar ġenetiku u għandu jintemm meta l-pazjent ma jkunx probabbli li jkompli jikber.

L-injezzjonijiet ta' Voxzogo jistgħu jingħataw mill-persuni li jieħdu ħsieb il-pazjenti ladarba jkunu ġew imħarrġa kif xieraq.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Voxzogo, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Kif jaħdem Voxzogo?

F'pazjenti b'akondroplażja, il-ġene *FGFR3*, li jirregola t-tkabbir, jiġi "attivat" b'mod permanenti. Dan jipprevjeni t-tkabbir normali tal-għadam, li jwassal għal għadam li jkun iqsar min-normal. Is-sustanza attiva f'Voxzogo, il-vosoritide, taħdem billi teħel ma' riċettur (mira) imsejjaħ natriuretic peptide tat-tip B (NPR-B), li jnaqqas l-attività ta' *FGFR3*. Dan jistimula t-tkabbir tal-għadam, u b'hekk itejjeb is-sintomi tal-marda.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Voxzogo li ħarġu mill-istudji?

Voxzogo kien aktar effettiv minn plaċebo (trattament fint) biex iżid ir-rata ta' tkabbir wara 52 ġimgħa ta' trattament fi studju li involva 121 tifel u tifla li għandhom bejn 5 snin u 17-il sena b'akondroplażja kkonfermata. It-tfal li ngħataw Voxzogo kibru madwar 1.57 cm aktar matul is-sena tat-trattament minn dawk li ngħataw plaċebo. Barra minn hekk, ir-riżultati jissuġġerixxu li t-titjib fit-tkabbir jinżamm.

Voxzogo kien aktar effettiv minn plaċebo biex iżid ir-rata ta' tkabbir fit-tieni studju li involva 75 tifel u tifla li għandhom minn 4 xhur sa inqas minn 5 snin b'akondroplażja kkonfermata. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fil-punteġġ Z tat-tul, kejl li jqabbel it-tul tal-pazjent mal-medja mistennija għall-età u s-sess tagħhom. Wara sena ta' trattament, it-tfal li ngħataw Voxzogo kellhom, bħala medja, titjib akbar fil-punteġġ Z tat-tul minn dawk li ngħataw plaċebo. It-tfal li ngħataw Voxzogo kibru wkoll madwar 0.8 cm aktar matul is-sena ta' trattament minn dawk li ngħataw plaċebo.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Voxzogo?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Voxzogo, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Voxzogo (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna waħda minn kull 10) huma reazzjonijiet fis-sit tal-injezzjoni (bħal nefħa, ħmura, ħakk jew uġigħ), rimettar u tnaqqis fil-pressjoni tad-demm.

Għaliex Voxzogo ġie awtorizzat fl-UE?

Voxzogo huwa effettiv biex iżid ir-rata ta' tkabbir fit-tfal b'akondroplażja ta' età ta' 4 xhur u aktar. Dan jista' jżid it-tul finali, u jippermetti lill-persuni b'akondroplażja jwettqu attivitajiet ta' kuljum b'mod aktar faċli. L-effetti sekondarji tal-mediċina kienu kkunsidrati maniġġabbli. Il-profil ta' sigurtà fit-tfal taħt l-età ta' 5 snin huwa simili għal dak fi tfal akbar. L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Voxzogo huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Voxzogo?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Voxzogo.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Voxzogo hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati b'Voxzogo huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Voxzogo

Voxzogo rċieva awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fis-26 ta' Awwissu 2021.

Aktar informazzjoni dwar Voxzogo tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'10-2023.