



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*vozoritid*)

Prehľad o lieku Voxzogo a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Voxzogo a na čo sa používa?

Voxzogo je liek na liečbu achondroplázie u pacientov vo veku 4 mesiacov a starších, ktorých kosti stále rastú.

Achondroplázia je dedičné ochorenie spôsobené mutáciou (zmenou) génu nazývaného receptor 3 rastového faktora fibroblastov (*FGFR3*). Mutácia ovplyvňuje rast takmer všetkých kostí v tele vrátane lebky, chrbtice a končatín, čo má za následok veľmi krátky vzrast s charakteristickým vzhľadom.

Achondroplázia je zriedkavá choroba, a preto bol liek Voxzogo 24. januára 2013 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Liek Voxzogo obsahuje liečivo vozoritid.

Ako sa liek Voxzogo používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis. Liečbu liekom Voxzogo musí začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou rastových porúch alebo abnormálneho rastu kostí.

Liek Voxzogo sa podáva formou injekcie pod kožu raz denne, podľa možnosti približne v rovnakom čase. Miesto vpichu sa má pri každej injekcii zmeniť. Odporúčaná dávka sa vypočíta na základe telesnej hmotnosti pacienta.

Liečba sa má začať len vtedy, ak je achondroplázia potvrdená genetickým testovaním a má sa ukončiť, ak nie je pravdepodobné, že pacient bude ďalej rásť.

Injekcie lieku Voxzogo môže podávať opatrovateľ pacienta po náležitom zaškolení.

Viac informácií o používaní lieku Voxzogo si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Voxzogo účinkuje?

U pacientov s achondropláziou je gén *FGFR3*, regulujúci rast, trvale tzv. aktivovaný. To bráni normálnemu rastu kostí, v dôsledku čoho sú kosti kratšie ako normálne. Liečivo lieku Voxzogo,



vozoritid, pôsobí tak, že sa naviaže na receptor (cieľ) nazývaný natriuretický peptidový receptor typu B (NPR-B), ktorý znižuje aktivitu *FGFR3*. To stimuluje rast kostí, a tým zlepšuje príznaky ochorenia.

Aké prínosy lieku Voxzogo boli preukázané v štúdiách?

Liek Voxzogo bol účinnejší ako placebo (zdanlivý liek) pri zvyšovaní rýchlosti rastu po 52 týždňoch liečby v štúdiu zahŕňajúcej 121 detí vo veku od 5 do 17 rokov s potvrdenou achondropláziou. Deti, ktoré dostávali liek Voxzogo, rástli počas roka liečby približne o 1,57 cm viac ako deti, ktoré dostávali placebo. Okrem toho z výsledkov vyplýva, že zlepšenie rastu je zachované.

Liek Voxzogo bol pri zvyšovaní rýchlosti rastu účinnejší ako placebo v druhej štúdiu, na ktorej sa zúčastnilo 75 detí vo veku od 4 mesiacov do menej ako 5 rokov s potvrdenou achondropláziou. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena výšky z-skóre, čo je opatrenie, ktoré porovnáva výšku pacienta s priemerom očakávaným pre jeho vek a pohlavie. Po jednom roku liečby sa u detí, ktorým sa podával liek Voxzogo, zaznamenalo v priemere výraznejšie zlepšenie výšky z-skóre ako u detí, ktorým sa podávalo placebo. A deti, ktoré dostávali liek Voxzogo, vyrástli počas jedného roku liečby približne o 0,8 cm viac ako deti, ktoré dostávali placebo.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Voxzogo?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Voxzogo a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Voxzogo (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú reakcie v mieste vpichu injekcie (ako je opuch, začervenanie, svrbenie alebo bolesť), vracanie a znížený krvný tlak.

Prečo bol liek Voxzogo povolený v EÚ?

Liek Voxzogo je účinný pri zlepšovaní rastu u detí s achondropláziou vo veku od 4 mesiacov. Tým sa môže zvýšiť telesná výška, čo umožní osobám s achondropláziou ľahšie vykonávať každodenné činnosti. Vedľajšie účinky lieku sa považovali za zvládnuteľné. Bezpečnostný profil u detí mladších ako 5 rokov je podobný ako u starších detí. Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Voxzogo sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Voxzogo?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Voxzogo boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Voxzogo sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri používaní lieku Voxzogo sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Voxzogo

Lieku Voxzogo bolo 26. augusta 2021 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Voxzogo sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 10-2023