



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Voxzogo (*vosoritid*)

En oversigt over Voxzogo, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Voxzogo, og hvad anvendes det til?

Voxzogo er et lægemiddel til behandling af akondroplasi hos patienter i alderen 4 måneder og derover, hvis knogler stadig vokser.

Akondroplasi er en arvelig sygdom, der skyldes en mutation i et gen kaldet fibroblast-vækstfaktorreceptor 3 (*FGFR3*). Mutationen påvirker væksten af næsten alle knogler i kroppen, herunder kraniet, rygsøjlen, armene og benene, og medfører en meget kort statur med et karakteristisk udseende.

Akondroplasi er sjælden, og Voxzogo blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 24. januar 2013. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme findes her: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094).

Voxzogo indeholder det aktive stof vosoritid.

### Hvordan anvendes Voxzogo?

Lægemidlet fås kun på recept. Behandling med Voxzogo skal indledes og overvåges af en læge med erfaring inden for behandling af vækstforstyrrelser eller unormal knoglevækst.

Voxzogo gives som en injektion under huden én gang dagligt, fortrinsvis på samme tidspunkt hver dag. Der bør anvendes et nyt indstikssted ved hver injektion. Den anbefalede dosis beregnes ud fra patientens legemsvægt.

Behandling bør kun indledes, når akondroplasi er påvist ved en genetisk test, og bør ophøre, når det ikke er sandsynligt, at patienten vil vokse yderligere.

Injektionerne med Voxzogo kan gives af patientens omsorgsperson, når denne er blevet behørigt instrueret heri.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Voxzogo, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Hvordan virker Voxzogo?

Hos patienter med akondroplasi er *FGFR3*-genet, der regulerer væksten, altid "aktiveret". Dette forhindrer normal knoglevækst, hvilket medfører kortere knogler end normalt. Det aktive stof i Voxzogo, vosoritid, virker ved at binde sig til en receptor (et mål) kaldet B type-natriuretisk peptid (NPR-B), som reducerer aktiviteten af *FGFR3*. Dette stimulerer knoglevæksten og forbedrer derved symptomerne på sygdommen.

## Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Voxzogo?

Voxzogo var mere egnet end placebo (en uvirksom behandling) til at øge væksthastigheden efter 52 ugers behandling i et studie blandt 121 børn i alderen 5-17 år med bekræftet akondroplasi. Børn, som fik Voxzogo, voksede ca. 1,57 cm mere i løbet af behandlingsåret end dem, der fik placebo. Desuden tyder resultaterne på, at forbedringen i væksten opretholdes.

Voxzogo var mere egnet end placebo til at øge væksthastigheden i et andet studie blandt 75 børn i alderen fra 4 måneder til under 5 år med bekræftet akondroplasi. Virkningen blev hovedsageligt målt på ændringen i højde-Z-score, et mål, hvor patientens højde sammenlignes med det gennemsnit, der forventes for deres alder og køn. Efter et års behandling oplevede børn, der fik Voxzogo, i gennemsnit en større forbedring i højde-Z-scoren end dem, der fik placebo. Børn, som fik Voxzogo, voksede også ca. 0,8 cm mere i løbet af behandlingsåret end dem, der fik placebo.

## Hvilke risici er der forbundet med Voxzogo?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Voxzogo fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Voxzogo (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er reaktioner på indstiksstedet (såsom hævelse, rødme, kløe eller smerter), opkastning og nedsat blodtryk.

## Hvorfor er Voxzogo godkendt i EU?

Voxzogo er egnet til at øge væksthastigheden hos børn i alderen 4 måneder og derover med akondroplasi. Dette kan øge den endelige højde og gøre det lettere for personer med akondroplasi at udføre daglige aktiviteter. Bivirkningerne ved lægemidlet anses for at være håndterbare. Sikkerhedsprofilen hos børn under 5 år svarer til sikkerhedsprofilen hos ældre børn. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Voxzogo opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Voxzogo anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Voxzogo anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Voxzogo løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Voxzogo vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## Øvrig information om Voxzogo

Voxzogo fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 26. august 2021.

Yderligere information om Voxzogo findes på agenturets websted:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo)

Denne oversigt blev sidst ajourført i 10-2023.