



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (βοσοριτίδη)

Ανασκόπηση του Voxzogo και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Voxzogo και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Voxzogo είναι φάρμακο για τη θεραπεία της αχονδροπλασίας σε ασθενείς ηλικίας 4 μηνών και άνω, των οποίων τα οστά εξακολουθούν να αναπτύσσονται.

Η αχονδροπλασία είναι μια κληρονομική νόσος που προκαλείται από μια μετάλλαξη (μεταβολή) σε ένα γονίδιο που ονομάζεται υποδοχέας 3 του αυξητικού παράγοντα των ινοβλαστών (*FGFR3*). Η μετάλλαξη επηρεάζει την ανάπτυξη όλων σχεδόν των οστών του σώματος, συμπεριλαμβανομένου του κρανίου, της σπονδυλικής στήλης, των βραχιόνων και των ποδιών, με αποτέλεσμα πολύ βραχύ ανάστημα με χαρακτηριστική εμφάνιση.

Η αχονδροπλασία είναι σπάνια ασθένεια και το Voxzogo χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 24 Ιανουαρίου 2013. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Το Voxzogo περιέχει τη δραστική ουσία βοσοριτίδη.

Πώς χρησιμοποιείται το Voxzogo;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας με Voxzogo πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία των διαταραχών ανάπτυξης ή της μη φυσιολογικής ανάπτυξης των οστών.

Το Voxzogo χορηγείται με υποδόρια ένεση μία φορά την ημέρα, κατά προτίμηση την ίδια περίπου ώρα της ημέρας. Το σημείο χορήγησης της ένεσης πρέπει να αλλάζει σε κάθε χορήγηση. Η συνιστώμενη δόση υπολογίζεται ανάλογα με το σωματικό βάρος του ασθενούς.

Η θεραπεία πρέπει να ξεκινάει μόνο όταν η αχονδροπλασία επιβεβαιωθεί με γενετικό έλεγχο και πρέπει να ολοκληρώνεται όταν ο ασθενής δεν είναι πιθανό να παρουσιάσει περαιτέρω ανάπτυξη.

Οι ενέσεις Voxzogo μπορούν να χορηγούνται από τον φροντιστή του ασθενούς μετά από κατάλληλη εκπαίδευση.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Voxzogo, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

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



Πώς δρα το Voxzogo;

Σε ασθενείς με αχονδροπλασία, το γονίδιο *FGFR3*, το οποίο ρυθμίζει την ανάπτυξη, είναι μονίμως ενεργοποιημένο. Αυτό αποτρέπει τη φυσιολογική ανάπτυξη των οστών, οδηγώντας σε οστά μικρότερα του φυσιολογικού. Η δραστική ουσία του Voxzogo, η βοσοριπίδη, δρα μέσω της δέσμευσής της στον υποδοχέα (στόχο) που ονομάζεται νατριουρητικός πεπτιδικός υποδοχέας τύπου Β (NPR-B). Ο υποδοχέας αυτός μειώνει τη δραστηριότητα του γονιδίου *FGFR3* διεγείροντας την ανάπτυξη των οστών και βελτιώνοντας έτσι τα συμπτώματα της νόσου.

Ποια είναι τα οφέλη του Voxzogo σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Voxzogo ήταν αποτελεσματικότερο από το εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) στην αύξηση του ρυθμού ανάπτυξης μετά από 52 εβδομάδες θεραπείας σε μια μελέτη στην οποία μετείχαν 121 παιδιά ηλικίας από 5 έως 17 ετών με επιβεβαιωμένη αχονδροπλασία. Τα παιδιά που έλαβαν Voxzogo παρουσίασαν αύξηση κατά 1,57 cm περίπου κατά τη διάρκεια του έτους θεραπείας σε σύγκριση με τα παιδιά που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Επιπλέον, τα αποτελέσματα δείχνουν ότι η βελτίωση της ανάπτυξης διατηρείται.

Το Voxzogo αποδείχθηκε αποτελεσματικότερο από το εικονικό φάρμακο στην αύξηση του ρυθμού ανάπτυξης σε μια δεύτερη μελέτη στην οποία μετείχαν 75 παιδιά ηλικίας από 4 μηνών έως κάτω των 5 ετών με επιβεβαιωμένη αχονδροπλασία. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μεταβολή της βαθμολογίας Z (Z-score), ενός δείκτη που συγκρίνει το ύψος του ασθενούς με τον μέσο όρο που αναμένεται για την ηλικία και το φύλο του. Μετά από ένα έτος θεραπείας, τα παιδιά που έλαβαν Voxzogo παρουσίασαν κατά μέσο όρο μεγαλύτερη βελτίωση στη βαθμολογία Z σε σύγκριση με τα παιδιά που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Τα παιδιά που έλαβαν Voxzogo παρουσίασαν επίσης αύξηση της τάξης των 0,8 cm περίπου κατά τη διάρκεια του έτους θεραπείας σε σύγκριση με τα παιδιά που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Voxzogo;

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που έχουν αναφερθεί με το Voxzogo, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Voxzogo (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι αντιδράσεις στο σημείο της ένεσης (όπως οίδημα, ερυθρότητα, κνησμός ή πόνος), έμετος και μειωμένη αρτηριακή πίεση.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Voxzogo στην ΕΕ;

Το Voxzogo είναι αποτελεσματικό στην αύξηση του ρυθμού ανάπτυξης των παιδιών με αχονδροπλασία ηλικίας 4 μηνών και άνω. Αυτό μπορεί να αυξήσει το τελικό ύψος, επιτρέποντας στα άτομα με αχονδροπλασία να εκτελούν τις καθημερινές τους δραστηριότητες ευκολότερα. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες του φαρμάκου κρίνονται αντιμετωπίσιμες. Η εικόνα ασφάλειας σε παιδιά ηλικίας κάτω των 5 ετών είναι παρόμοια με αυτήν των μεγαλύτερων παιδιών. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Voxzogo υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Voxzogo;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους

επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Voxzogo.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Voxzogo τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται με το Voxzogo αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Voxzogo

Το Voxzogo έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 26 Αυγούστου 2021.

Περισσότερες πληροφορίες για το Voxzogo διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 10-2023.