



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Voxzogo (*vosoritidi*)

Yleistiedot Voxzogo-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Voxzogo on ja mihin sitä käytetään?

Voxzogo on lääke, jolla hoidetaan akondroplasiaa neljä kuukautta täyttäneillä ja sitä vanhemmilla potilailla, joiden luut kasvavat edelleen.

Akondroplasia on perinnöllinen sairaus, jonka aiheuttaa mutaatio (muutos) geenissä nimeltä fibroblastikasvutekijäreseptori 3 (*FGFR3*). Kyseinen mutaatio vaikuttaa lähes kaikkien kehon luiden, kuten kallon, selkärangan, käsivarsien ja jalkojen, kasvuun, mikä aiheuttaa lyhytkasvuisuutta ja saa aikaan sairaudelle tunnusomaisen ulkonäön.

Akondroplasia on harvinainen sairaus, ja Voxzogo nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 24. tammikuuta 2013. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094)

Voxzogon vaikuttava aine on vosoritidi.

### Miten Voxzogoa käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Voxzogo-hoidon aloittaa ja sitä valvoo lääkäri, jolla on kokemusta kasvun häiriöiden tai luiden epänormaalin kasvun hoidosta.

Voxzogo annetaan injektiona ihon alle kerran vuorokaudessa, mieluiten suunnilleen samaan aikaan päivästä. Pistoskohtaa on vaihdettava joka kerta. Suositusannos lasketaan potilaan painon mukaan.

Hoido tulee aloittaa vain, jos akondroplasia on vahvistettu geenitestillä, ja se lopetetaan, kun potilaan kasvu ei enää ole todennäköistä.

Potilasta hoitavat henkilöt voivat antaa Voxzogo-injektion asianmukaisen opastuksen saatuaan.

Lisätietoa Voxzogon käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Miten Voxzogo vaikuttaa?

Akondroplasiaa sairastavilla potilailla kasvua säätelevä *FGFR3*-geeni on pysyvästi aktiivinen. Tämä estää luiden normaalin kasvun, minkä seurauksena luut jäävät normaalia lyhyemmiksi. Voxzogon vaikuttava aine vosoritidi vaikuttaa sitoutumalla reseptoriin (kohteeseen) nimeltä natriureettinen

---

**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



peptidireseptori B (NPR-B), joka vähentää *FGFR3*:n aktiivisuutta. Tämä edistää luiden kasvua ja lievittää siten sairauden oireita.

## Mitä hyötyä Voxzogosta on havaittu tutkimuksissa?

Voxzogo osoittautui lumelääkettä tehokkaammaksi kasvun lisäämisessä 52 hoitoviikon jälkeen tutkimuksessa, johon osallistui 121 akondroplasiaa sairastavaa 5–17-vuotiasta lasta. Voxzogoa saaneet lapset kasvoivat hoitovuoden aikana noin 1,57 cm enemmän kuin lumelääkettä saaneet lapset. Lisäksi tulokset viittaavat siihen, että parantunut kasvu jatkuu.

Voxzogo oli lumelääkettä tehokkaampi kasvun lisäämisessä toisessa tutkimuksessa, johon osallistui 75 akondroplasiaa sairastavaa lasta, joiden ikä vaihteli neljästä kuukaudesta alle viiteen vuoteen. Tehon pääasiallisena mittana oli pituuden Z-arvon muutos. Se on mittari, joka vertaa potilaan pituutta iän ja sukupuolen mukaan odotettuun keskimääräiseen pituuteen. Vuoden kestäneen hoidon jälkeen Voxzogoa saaneiden lasten pituuden Z-arvot paranivat keskimäärin enemmän kuin lumelääkettä saaneilla lapsilla. Voxzogoa saaneet lapset myös kasvoivat hoitovuoden aikana noin 0,8 cm enemmän kuin lumelääkettä saaneet lapset.

## Mitä riskejä Voxzagoon liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Voxzogon ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Voxzogon yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat injektiokohdan reaktiot (kuten turvotus, punoitus, kutina tai kipu), oksentelu ja verenpaineen lasku.

## Miksi Voxzogo on hyväksytty EU:ssa?

Voxzogo lisää tehokkaasti akondroplasiaa sairastavien lasten kasvua vähintään 4 kuukauden ikäisillä lapsilla. Tämä voi lisätä lopullista pituutta, jolloin akondroplasiaa sairastavat henkilöt voivat suoriutua päivittäisistä toiminnoista helpommin. Lääkkeen haittavaikutusten katsotaan olevan hallittavissa. Turvallisuusprofiili on alle 5-vuotiailla lapsilla samanlainen kuin vanhemmilla lapsilla. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Voxzogon hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

## Miten voidaan varmistaa Voxzogon turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Voxzogon käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Voxzogon käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Voxzogosta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

## Muita tietoja Voxzogosta

Voxzogo sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 26. elokuuta 2021.

Lisää tietoa Voxzogosta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo)

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 10-2023.