



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Voxzogo (*vosoritide*)

Aperçu de Voxzogo et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

### Qu'est-ce que Voxzogo et dans quel cas est-il utilisé?

Voxzogo est un médicament utilisé dans le traitement de l'achondroplasie chez les patients âgés de quatre mois et plus dont la croissance osseuse n'est pas terminée.

L'achondroplasie est une maladie héréditaire causée par une mutation (modification) d'un gène appelé récepteur 3 du facteur de croissance fibroblastique (*FGFR3*). Cette mutation affecte la croissance de la quasi-totalité des os du corps, y compris le crâne, la colonne vertébrale, les bras et les jambes, ce qui conduit à une très petite taille avec une apparence caractéristique.

L'achondroplasie est rare et Voxzogo a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 24 janvier 2013. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles ci-après : [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094).

Voxzogo contient la substance active vosoritide.

### Comment Voxzogo est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement par Voxzogo doit être instauré et supervisé par un médecin expérimenté dans le traitement des troubles de la croissance ou de la croissance anormale des os.

Voxzogo est administré par injection sous la peau une fois par jour, de préférence à peu près à la même heure de la journée. Il convient de changer de site d'injection à chaque injection. La dose recommandée est calculée en fonction du poids corporel du patient.

Le traitement ne doit être instauré que lorsque l'achondroplasie est confirmée par des tests génétiques et doit prendre fin lorsqu'il est peu probable que la croissance du patient continue.

Les injections de Voxzogo peuvent être administrées par le soignant du patient après avoir reçu une formation appropriée.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Voxzogo, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

---

**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



## **Comment Voxzogo agit-il?**

Chez les patients atteints d'achondroplasie, le gène *FGFR3*, qui régule la croissance, est «activé» en permanence. Cela empêche la croissance normale des os, qui deviennent plus courts que la normale. La substance active de Voxzogo, le vosoritide, agit en se liant à un récepteur (cible) appelé récepteur peptidique natriurétique de type B (NPR-B), ce qui réduit l'activité du *FGFR3*. Cela stimule la croissance des os, améliorant ainsi les symptômes de la maladie.

## **Quels sont les bénéfices de Voxzogo démontrés au cours des études?**

Voxzogo s'est avéré plus efficace que le placebo (traitement fictif) pour augmenter le taux de croissance après 52 semaines de traitement dans une étude portant sur 121 enfants âgés de 5 à 17 ans présentant une achondroplasie confirmée. Les enfants ayant reçu Voxzogo ont grandi d'environ 1,57 cm de plus pendant l'année de traitement que ceux ayant reçu le placebo. En outre, les résultats suggèrent que l'amélioration de la croissance se maintient.

Voxzogo s'est avéré plus efficace que le placebo pour augmenter le taux de croissance dans une deuxième étude portant sur 75 enfants âgés de 4 mois à moins de 5 ans présentant une achondroplasie confirmée. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la variation du Z score de taille, mesure qui compare la taille du patient à la moyenne attendue pour son âge et son sexe. Après un an de traitement, les enfants ayant reçu Voxzogo présentaient, en moyenne, une amélioration du Z score de taille plus importante que ceux sous placebo. Les enfants ayant reçu Voxzogo ont également grandi d'environ 0,8 cm de plus pendant l'année de traitement que ceux ayant reçu le placebo.

## **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Voxzogo?**

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Voxzogo, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Voxzogo (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: réactions au site d'injection (telles que gonflement, rougeur, démangeaison ou douleur), vomissements et baisse de la tension artérielle.

## **Pourquoi Voxzogo est-il autorisé dans l'UE?**

Voxzogo est efficace pour augmenter le taux de croissance chez les enfants atteints d'achondroplasie âgés de 4 mois et plus. Cela peut augmenter la taille finale, ce qui permet aux personnes atteintes d'achondroplasie d'effectuer des activités quotidiennes plus facilement. Les effets indésirables du médicament sont considérés comme gérables. Le profil de sécurité chez les enfants de moins de 5 ans est similaire à celui observé chez les enfants plus âgés. L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Voxzogo sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Voxzogo?**

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Voxzogo ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Voxzogo sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Voxzogo sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

### **Autres informations relatives à Voxzogo:**

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Voxzogo le 26 août 2021.

De plus amples informations sur Voxzogo sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo)

Dernière mise à jour du présent aperçu: 10-2023.