



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (voszoritid)

A Voxzogo-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Voxzogo és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Voxzogo az achondroplázia kezelésére alkalmazott gyógyszer azoknál a 4 hónapos és idősebb betegeknél, akiknél a csontnövekedés még nem állt le.

Az achondroplázia egy örökletes betegség, amelyet a fibroblaszt növekedési faktor receptor 3 (*FGFR3*) nevű gén mutációja (módosulása) okoz. A mutáció a szervezet szinte minden csontjának növekedését érinti, beleértve a koponyát, a gerincet, a karokat és a lábakat is, ami nagyon alacsony termetet és jellegzetes megjelenést eredményez.

Mivel az achondroplázia „ritkának” minősül, ezért a Voxzogo-t 2013. január 24-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

A Voxzogo hatóanyaga a voszoritid.

Hogyan kell alkalmazni a Voxzogo-t?

A gyógyszer csak receptre kapható. A Voxzogo-kezelést a növekedési rendellenességek, illetve a csontok rendellenes növekedése kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A Voxzogo-t bőr alá adott injekcióként, naponta egyszer, lehetőleg ugyanabban az időpontban kell beadni. Az egyes injekciókat mindig más helyre kell beadni. Az ajánlott adagot a beteg testtömege alapján kell kiszámítani.

A kezelést csak akkor lehet megkezdeni, ha az achondropláziát genetikai vizsgálat igazolta, és akkor kell befejezni, amikor a beteg további növekedése nem valószínű.

Megfelelő betanítás után a Voxzogo-injekciót a beteg gondozója is beadhatja.

A Voxzogo alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását a Voxzogo?

Az achondropláziában szenvedő betegeknél a növekedést szabályozó *FGFR3* gén tartósan „bekapcsolt állapotban” van. Ez megakadályozza a csontok normális növekedését, ami a normálisnál rövidebb csontokhoz vezet. A Voxzogo hatóanyaga, a voszoritid azáltal fejti ki hatását, hogy a B típusú nátriuretikus peptid receptorhoz (NPR-B) (célreceptor) kötődik, ami csökkenti az *FGFR3* aktivitását. Ez serkenti a csontok növekedését, ezáltal enyhíti a betegség tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Voxzogo alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Voxzogo 52 heti kezelés után a placebónál (hatóanyag nélküli kezelés) hatékonyabban növelte a növekedési rátát egy 121, igazoltan achondropláziában szenvedő, 5–17 éves korú gyermek bevonásával végzett vizsgálatban. A Voxzogo-val kezelt gyermekek körülbelül 1,57 cm-rel nagyobb növekedést mutattak a kezelés egy éve alatt, mint a placebóval kezelték. Emellett az eredmények a növekedés javulásának fennmaradására utalnak.

A Voxzogo a placebónál hatékonyabbnak bizonyult a növekedési ráta növelésében egy második vizsgálatban, amelyben 75, legalább 4 hónapos, de 5 évesnél fiatalabb, igazoltan achondropláziában szenvedő gyermek vett részt. A hatásosság fő mutatója a magasságra vonatkozó Z érték változása volt; ez az érték a beteg magasságát az életkora és neme alapján várható átlaggal hasonlítja össze. Egy év kezelést követően a Voxzogo-val kezelt gyermekeknél átlagosan nagyobb mértékben javult a magasságra vonatkozó Z érték, mint a placebóval kezelték esetében. A Voxzogo-kezelést kapott gyermekek továbbá körülbelül 0,8 cm-rel többet nőttek a kezelés egy éve alatt, mint azok, akik placebót kaptak.

Milyen kockázatokkal jár a Voxzogo alkalmazása?

A Voxzogo alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Voxzogo leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az injekció beadásának helyén fellépő reakciók (például duzzanat, vörösség, viszketés vagy fájdalom), a hányás és a csökkent vérnyomás.

Miért engedélyezték a Voxzogo forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Voxzogo hatásos a növekedési ráta növelésében az achondropláziában szenvedő, 4 hónapos és idősebb gyermekeknél. Ez növelheti a végleges testmagasságot, és lehetővé teszi az achondropláziában szenvedő személyek számára, hogy a napi tevékenységeket könnyebben elvégezzék. A gyógyszer mellékhatásai kezelhetőnek tekinthetők. Az 5 évesnél fiatalabb gyermekek esetében a biztonságossági profil hasonló az idősebb gyermekeknél megfigyelthez. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Voxzogo alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Voxzogo biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Voxzogo biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Voxzogo alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Voxzogo alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Voxzogo-val kapcsolatos egyéb információ

2021. augusztus 26-án a Voxzogo az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Voxzogo-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 10-2023.