



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*vosoritide*)

Sintesi di Voxzogo e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Voxzogo e per cosa si usa?

Voxzogo è un medicinale per il trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età pari a 4 mesi e superiore le cui ossa si stanno ancora sviluppando.

L'acondroplasia è una malattia ereditaria causata da una mutazione (variazione) di un gene denominato recettore del fattore di crescita dei fibroblasti 3 (*FGFR3*). La mutazione influisce sulla crescita di quasi tutte le ossa del corpo, incluse quelle del cranio, della colonna vertebrale, delle braccia e delle gambe, determinando una statura molto bassa di aspetto caratteristico.

L'acondroplasia è rara e Voxzogo è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 24 gennaio 2013. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo contiene il principio attivo vosoritide.

Come si usa Voxzogo?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento con Voxzogo deve essere iniziato e supervisionato da un medico esperto nel trattamento dei disturbi della crescita o della crescita anomala delle ossa.

Voxzogo viene somministrato mediante iniezione sottocutanea una volta al giorno, preferibilmente all'incirca alla stessa ora. A ogni somministrazione è opportuno variare la sede di iniezione. La dose raccomandata è calcolata in base al peso corporeo del paziente.

Il trattamento deve essere iniziato solo quando l'acondroplasia è confermata dall'analisi genetica e deve terminare quando è improbabile che il paziente cresca ulteriormente.

Dopo un opportuno addestramento, le iniezioni di Voxzogo possono essere praticate dalla persona che si prende cura del paziente.

Per maggiori informazioni sull'uso di Voxzogo, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

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



Come agisce Voxzogo?

Nei pazienti con acondroplasia, il gene *FGFR3*, che regola la crescita, è costantemente "attivato". Ciò impedisce la normale crescita ossea e comporta ossa più corte del normale. Il principio attivo di Voxzogo, vosoritide, agisce legandosi a un recettore (bersaglio) denominato recettore del peptide natriuretico di tipo B (NPR-B), che riduce l'attività dell'*FGFR3*. Ciò stimola la crescita ossea, migliorando in tal modo i sintomi della malattia.

Quali benefici di Voxzogo sono stati evidenziati negli studi?

Voxzogo si è rivelato più efficace del placebo (trattamento fittizio) nell'aumentare la velocità di crescita dopo 52 settimane di trattamento in uno studio condotto su 121 bambini e adolescenti di età compresa tra 5 e 17 anni con acondroplasia confermata. I bambini trattati con Voxzogo sono cresciuti di circa 1,57 cm in più nel corso dell'anno di trattamento rispetto a quelli che hanno ricevuto il placebo. Inoltre, i risultati suggeriscono che il miglioramento della crescita è mantenuto.

Voxzogo si è rivelato più efficace del placebo nell'aumentare la velocità di crescita in un secondo studio condotto su 75 bambini di età compresa tra 4 mesi e meno di 5 anni con acondroplasia confermata. La principale misura dell'efficacia era la variazione dello Z-score dell'altezza, una misura che confronta l'altezza del paziente con la media attesa in base all'età e al sesso. Dopo un anno di trattamento, i bambini trattati con Voxzogo presentavano in media un miglioramento dello Z-score dell'altezza maggiore rispetto a quelli trattati con placebo. Inoltre, i bambini trattati con Voxzogo sono cresciuti di circa 0,8 cm in più nel corso dell'anno di trattamento rispetto a quelli che hanno ricevuto il placebo.

Quali sono i rischi associati a Voxzogo?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Voxzogo, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Voxzogo (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono reazioni in sede di iniezione (quali tumefazione, arrossamento, sensazione di prurito o dolore), vomito e pressione arteriosa ridotta.

Perché Voxzogo è autorizzato nell'UE?

Voxzogo è efficace nell'aumentare la velocità di crescita nei bambini affetti da acondroplasia di età pari a 4 mesi e superiore. In questo modo è possibile conseguire un aumento dell'altezza finale, consentendo alle persone affette da acondroplasia di svolgere più agevolmente le attività quotidiane. Gli effetti indesiderati del medicinale sono ritenuti gestibili. Il profilo di sicurezza nei bambini di età inferiore ai 5 anni è simile a quello dei bambini più grandi. L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Voxzogo sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Voxzogo?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Voxzogo sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Voxzogo sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Voxzogo sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Voxzogo

Voxzogo ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 26 agosto 2021.

Ulteriori informazioni su Voxzogo sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 10-2023.