



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*vosoritide*)

Een overzicht van Voxzogo en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Voxzogo en wanneer wordt het voorgeschreven?

Voxzogo is een geneesmiddel voor de behandeling van achondroplasie bij patiënten van 4 maanden en ouder bij wie de botten nog groeien.

Achondroplasie is een erfelijke ziekte die wordt veroorzaakt door een mutatie (verandering) in het gen fibroblastgroeifactorreceptor 3 (*FGFR3*). De mutatie verstoort de groei van bijna alle botten in het lichaam, inclusief de schedel, de wervelkolom, de armen en de benen, wat een zeer korte gestalte met een kenmerkend uiterlijk tot gevolg heeft.

Achondroplasie is zeldzaam, en Voxzogo werd op 24 januari 2013 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo bevat de werkzame stof vosoritide.

Hoe wordt Voxzogo gebruikt?

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling met Voxzogo moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van groeistoornissen of abnormale botgroei.

Voxzogo wordt eenmaal daags, bij voorkeur rond hetzelfde tijdstip, toegediend door middel van een injectie onder de huid. Voor elke injectie moet een andere injectieplaats worden gekozen. De aanbevolen dosis wordt berekend op basis van het lichaamsgewicht van de patiënt.

De behandeling mag alleen worden gestart wanneer achondroplasie door genetische tests is bevestigd en moet worden beëindigd wanneer het onwaarschijnlijk is dat de patiënt nog zal groeien.

Voxzogo-injecties kunnen aan de patiënt worden toegediend door een verzorger zodra dit hem of haar is aangeleerd.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Voxzogo.

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



Hoe werkt Voxzogo?

Bij patiënten met achondroplasie is het *FGFR3*-gen, dat de groei reguleert, permanent 'ingeschakeld'. Dit voorkomt een normale groei van botten, wat leidt tot botten die korter zijn dan normaal. De werkzame stof in Voxzogo, vosoritide, werkt door zich te binden aan een receptor (doelwit) genaamd natriuretische peptidereceptor type B (NPR-B), die de activiteit van *FGFR3* vermindert. Dit stimuleert de groei van botten, waardoor de symptomen van de ziekte verbeteren.

Welke voordelen bleek Voxzogo tijdens de studies te hebben?

Voxzogo was werkzaam dan placebo (een schijnbehandeling) bij het verhogen van de groeisnelheid na 52 weken behandeling in een studie onder 121 kinderen in de leeftijd van 5 tot 17 jaar met bevestigde achondroplasie. De kinderen die Voxzogo kregen, groeiden ongeveer 1,57 cm meer gedurende het jaar van de behandeling dan degenen die placebo kregen. Bovendien wijzen de resultaten erop dat de groeiverbetering aanhoudt.

Voxzogo was werkzaam dan placebo bij het verhogen van de groeisnelheid in een tweede studie onder 75 kinderen van 4 maanden tot jonger dan 5 jaar met bevestigde achondroplasie. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering in de Z-score voor lengte, een graadmeter waarbij de lengte van de patiënt wordt vergeleken met het te verwachten gemiddelde voor zijn of haar leeftijd en geslacht. Na één jaar behandeling vertoonden kinderen die Voxzogo kregen gemiddeld een grotere verbetering van de Z-score voor lengte dan kinderen die placebo kregen. De kinderen die Voxzogo kregen, groeiden ook ongeveer 0,8 cm meer gedurende het jaar van de behandeling dan degenen die placebo kregen.

Welke risico's houdt het gebruik van Voxzogo in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Voxzogo.

De meest voorkomende bijwerkingen van Voxzogo (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn reacties op de injectieplaats (zoals zwelling, roodheid, jeuk of pijn), braken en verlaagde bloeddruk.

Waarom is Voxzogo geregistreerd in de EU?

Voxzogo is werkzaam bij het verhogen van de groeisnelheid bij kinderen met achondroplasie in de leeftijd van 4 maanden en ouder. Dit kan leiden tot een toename van de uiteindelijke lengte, waardoor personen met achondroplasie beter in staat zijn dagelijkse activiteiten uit te voeren. De bijwerkingen van het geneesmiddel worden als beheersbaar beschouwd. Het veiligheidsprofiel bij kinderen jonger dan 5 jaar is vergelijkbaar met dat bij oudere kinderen. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Voxzogo groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Voxzogo te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Voxzogo, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Voxzogo continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Voxzogo worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Voxzogo

Op 26 augustus 2021 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Voxzogo verleend.

Meer informatie over Voxzogo is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 10-2023.