



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*wosorytyd*)

Przegląd wiedzy na temat leku Voxzogo i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Voxzogo i w jakim celu się go stosuje

Voxzogo jest lekiem stosowanym w leczeniu achondroplazji u pacjentów w wieku 4 miesięcy lub starszych, których kości wciąż rosną.

Achondroplazja jest chorobą dziedziczną spowodowaną mutacją (zmianą) w genie zwanym receptorem czynnika wzrostu fibroblastów 3 (ang. *fibroblast growth-factor receptor 3, FGFR3*). Mutacja ta wpływa na wzrost prawie wszystkich kości w ciele, w tym czaszki, kręgosłupa, ramion i nóg, powodując bardzo niski wzrost o charakterystycznym wyglądzie.

Ze względu na to, że achondroplazja jest chorobą rzadko występującą, w dniu 24 stycznia 2013 r. lek Voxzogo uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocę można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Substancją czynną zawartą w leku Voxzogo jest wosorytyd.

Jak stosować lek Voxzogo

Lek wydawany na receptę. Leczenie za pomocą leku Voxzogo musi rozpocząć i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu zaburzeń wzrostu kości lub nieprawidłowego wzrostu kości.

Lek Voxzogo podaje się we wstrzyknięciu podskórnym raz na dobę, najlepiej mniej więcej o tej samej porze dnia. Przy każdym podaniu należy zmieniać miejsce wstrzyknięcia. Zalecaną dawkę oblicza się na podstawie masy ciała pacjenta.

Leczenie należy rozpocząć tylko wtedy, gdy achondroplazja jest potwierdzona badaniami genetycznymi, i zakończyć, gdy prawdopodobieństwo dalszego wzrostu pacjenta jest niewielkie.

Po odpowiednim przeszkoleniu opiekun pacjenta może wykonywać wstrzyknięcia leku Voxzogo.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Voxzogo znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



Jak działa lek Voxzogo

U pacjentów z achondroplazją gen *FGFR3* regulujący wzrost jest na stałe „włączony”. Uniemożliwia to normalny wzrost kości, prowadząc do tego, że kości są krótsze niż normalnie. Substancja czynna leku Voxzogo, wosorytyd, działa poprzez wiązanie się z receptorem (celem) zwanym receptorem typu B peptydów natriuretycznych (NPR-B), co zmniejsza aktywność *FGFR3*. Pobudza to wzrost kości, łagodząc w ten sposób objawy choroby.

Korzyści ze stosowania leku Voxzogo wykazane w badaniach

W badaniu z udziałem 121 dzieci w wieku od 5 do 17 lat z potwierdzoną achondroplazją lek Voxzogo był skuteczniejszy niż placebo (leczenie pozorowane) pod względem zwiększenia tempa wzrostu po 52 tygodniach leczenia. U dzieci, które otrzymywały lek Voxzogo, w ciągu jednego roku leczenia odnotowano wzrost o około 1,57 cm większy niż u dzieci, które otrzymywały placebo. Ponadto wyniki sugerują, że poprawa wzrostu utrzymuje się.

W drugim badaniu z udziałem 75 dzieci w wieku od 4 miesięcy do poniżej 5 lat z potwierdzoną achondroplazją lek Voxzogo był skuteczniejszy niż placebo pod kątem zwiększania tempa wzrostu. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana wskaźnika Z wzrostu, który służy do porównywania wzrostu pacjenta do średniej wartości oczekiwanej dla jego wieku i płci. Po roku leczenia u dzieci, którym podawano lek Voxzogo, nastąpiła średnio większa poprawa wskaźnika Z wzrostu niż u dzieci, którym podawano placebo. U dzieci, które otrzymywały lek Voxzogo, w ciągu jednego roku leczenia odnotowano również wzrost o około 0,8 cm większy niż u dzieci, które otrzymywały placebo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Voxzogo

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Voxzogo znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Voxzogo (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: reakcje w miejscu wstrzyknięcia (takie jak obrzęk, zaczerwienienie, świąd lub ból), wymioty i obniżone ciśnienie krwi.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Voxzogo w UE

Lek Voxzogo jest skuteczny w zwiększaniu tempa wzrostu u dzieci z achondroplazją w wieku 4 miesięcy lub starszych. Może to zwiększyć ostateczny wzrost, ułatwiając tym samym osobom z achondroplazją wykonywanie codziennych czynności. Działania niepożądane leku uznano za możliwe do kontrolowania. Profil bezpieczeństwa u dzieci w wieku poniżej 5 lat jest podobny do profilu bezpieczeństwa u starszych dzieci. Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Voxzogo przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Voxzogo

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Voxzogo w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Voxzogo są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Voxzogo są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Voxzogo

Lek Voxzogo otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 26 sierpnia 2021 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Voxzogo znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo

Data ostatniej aktualizacji: 10.2023.