



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*vosoritida*)

Um resumo sobre Voxzogo e porque está autorizado na UE

O que é Voxzogo e para que é utilizado?

Voxzogo é um medicamento para o tratamento da acondroplasia em doentes com idade igual ou superior a 4 meses, cujos ossos ainda se encontrem em crescimento.

A acondroplasia é uma doença hereditária causada por uma mutação (alteração) num gene chamado recetor do fator de crescimento de fibroblastos 3 (*FGFR3*). A mutação afeta o crescimento de quase todos os ossos do corpo, incluindo o crânio, a coluna, os braços e as pernas, resultando numa estatura muito baixa com uma aparência característica.

A acondroplasia é uma doença rara, e Voxzogo foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 24 de janeiro de 2013. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo contém a substância ativa vosoritida.

Como se utiliza Voxzogo?

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento com Voxzogo deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento de perturbações do crescimento ou do crescimento anormal dos ossos.

Voxzogo é administrado por injeção sob a pele uma vez por dia, de preferência aproximadamente à mesma hora do dia. O local de injeção deve ser alternado a cada injeção. A dose recomendada é calculada de acordo com o peso corporal do doente.

O tratamento só deve ser iniciado quando a acondroplasia for confirmada por testes genéticos e deve terminar quando não for provável que o doente continue a crescer.

As injeções de Voxzogo podem ser administradas pelo prestador de cuidados dos doentes depois de receberem formação adequada.

Para mais informações sobre a utilização de Voxzogo, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

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



Como funciona Voxzogo?

Em doentes com acondroplasia, o gene *FGFR3*, que regula o crescimento, está permanentemente ligado. Isto impede o crescimento normal dos ossos, levando a ossos mais curtos do que o normal. A substância ativa de Voxzogo, o vosoritida, atua ligando-se a um recetor (alvo) denominado recetor de peptídeo natriurético tipo B (NPR-B), que reduz a atividade do *FGFR3*. Isto estimula o crescimento dos ossos, melhorando assim os sintomas da doença.

Quais os benefícios demonstrados por Voxzogo durante os estudos?

Voxzogo foi mais eficaz do que o placebo (tratamento simulado) no aumento da taxa de crescimento após 52 semanas de tratamento num estudo que incluiu 121 crianças com idades compreendidas entre os 5 e os 17 anos com acondroplasia confirmada. As crianças que receberam Voxzogo aumentaram cerca de 1,57 cm mais durante o ano de tratamento do que as que receberam o placebo. Além disso, os resultados sugerem que a melhoria no crescimento se mantém.

Voxzogo foi mais eficaz do que o placebo no aumento da taxa de crescimento num segundo estudo que incluiu 75 crianças com idades compreendidas entre os 4 meses e menos de 5 anos com acondroplasia confirmada. O principal parâmetro de eficácia foi a alteração do z-score de estatura, uma medida que compara a altura do doente com a média esperada para a sua idade e sexo. Após um ano de tratamento, as crianças que receberam Voxzogo apresentaram, em média, uma melhoria maior no z-score de estatura do que as que receberam o placebo. As crianças que receberam Voxzogo também aumentaram cerca de 0,8 cm mais durante o ano de tratamento do que as que receberam o placebo.

Quais são os riscos associados a Voxzogo?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Voxzogo, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Voxzogo (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são reações no local da injeção (tais como inchaço, vermelhidão, comichão ou dor), vômitos e diminuição da pressão arterial.

Por que está Voxzogo autorizado na UE?

Voxzogo é eficaz no aumento da taxa de crescimento em crianças com idade igual ou superior a 4 meses diagnosticadas com acondroplasia. Isto pode aumentar a estatura final, permitindo às pessoas com acondroplasia realizar atividades diárias mais facilmente. Os efeitos secundários do medicamento são considerados controláveis. O perfil de segurança em crianças com menos de 5 anos de idade é semelhante ao das crianças mais velhas. A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Voxzogo são superiores aos seus riscos e que pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Voxzogo?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Voxzogo.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Voxzogo são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Voxzogo são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Voxzogo

A 26 de agosto de 2021, Voxzogo recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Para informações adicionais sobre Voxzogo consulte o sítio Internet da Agência em:

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

Este resumo foi atualizado pela última vez em 10-2023.