



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Voxzogo (vosoritidă)

Prezentare generală a Voxzogo și motivele autorizării medicamentului în UE

### Ce este Voxzogo și pentru ce se utilizează?

Voxzogo este un medicament pentru tratarea acondroplaziei la pacienți cu vârsta de 4 luni și peste, ale căror oase sunt încă în creștere.

Acondroplazia este o boală ereditară cauzată de o mutație (modificare) a unei gene numite receptor al factorului de creștere fibroblastic 3 (*FGFR3*). Mutația afectează creșterea a aproape tuturor oaselor corpului, inclusiv a craniului, a coloanei vertebrale, a brațelor și a picioarelor, ceea ce duce la o statură foarte scundă, cu aspect caracteristic.

Acondroplazia este rară, iar Voxzogo a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 24 ianuarie 2013. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi aici: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094).

Voxzogo conține substanța activă vosoritidă.

### Cum se utilizează Voxzogo?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul cu Voxzogo trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul tulburărilor de creștere sau al dezvoltării anormale a oaselor.

Voxzogo se administrează sub formă de injecție subcutanată (sub piele) o dată pe zi, de preferință în jurul aceleași ore. Locul de injecție trebuie schimbat la fiecare injecție. Doza recomandată se calculează în funcție de greutatea corporală a pacientului.

Tratamentul trebuie început numai atunci când acondroplazia este confirmată prin teste genetice și trebuie oprit dacă este puțin probabil ca pacientul să continue să mai crească.

Injecțiile cu Voxzogo pot fi administrate de îngrijitorii pacienților după o instruire corespunzătoare.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Voxzogo, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Cum acționează Voxzogo?

La pacienții cu acondroplazie, gena *FGFR3*, care reglează creșterea, este permanent „activată”. Acest lucru împiedică creșterea normală a oaselor, ceea ce rezultă în oase mai scurte decât în mod normal. Substanța activă din Voxzogo, vosoritida, acționează legându-se de un receptor (țintă) numit receptor de peptidă natriuretică de tip B (NPR-B), care reduce activitatea *FGFR3*. Acest lucru stimulează creșterea oaselor, ameliorând astfel simptomele bolii.

## Ce beneficii a prezentat Voxzogo pe parcursul studiilor?

Voxzogo a fost mai eficace decât placebo (un preparat inactiv) în îmbunătățirea ratei de creștere după 52 de săptămâni de tratament într-un studiu care a cuprins 121 de copii și adolescenți cu vârsta între 5 și 17 ani cu acondroplazie confirmată. Copiii și adolescenții care au primit Voxzogo au crescut cu aproximativ 1,57 cm mai mult într-un an de tratament decât cei care au primit placebo. În plus, rezultatele arată că îmbunătățirea creșterii se menține.

Voxzogo a fost mai eficace decât placebo în îmbunătățirea ratei de creștere într-un al doilea studiu care a cuprins 75 de copii cu vârste cuprinse între 4 luni și mai puțin de 5 ani cu acondroplazie confirmată. Principalul indicator al eficacității a fost modificarea scorului Z pentru înălțime, o măsură care compară înălțimea pacientului cu media anticipată pentru vârsta și sexul acestuia. După un an de tratament, copiii cărora li s-a administrat Voxzogo au avut, în medie, o îmbunătățire mai mare a scorului Z decât cei cărora li s-a administrat placebo. De asemenea, copiii care au primit Voxzogo au crescut cu aproximativ 0,8 cm mai mult într-un an de tratament decât cei care au primit placebo.

## Care sunt riscurile asociate cu Voxzogo?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Voxzogo, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Voxzogo (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt reacții la locul injecției (de exemplu, umflare, înroșire, mâncărime sau durere), vărsături și scăderea tensiunii arteriale.

## De ce a fost autorizat Voxzogo în UE?

Voxzogo este eficace în îmbunătățirea ratei de creștere la copiii și adolescenții cu acondroplazie în vârstă de 4 luni și peste. Acesta poate crește înălțimea finală, permițând persoanelor cu acondroplazie să desfășoare activități zilnice mai ușor. Reacțiile adverse ale medicamentului sunt considerate gestionabile terapeutic. Profilul de siguranță la copiii cu vârsta sub 5 ani este similar cu cel la copiii mai mari. Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Voxzogo sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

## Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Voxzogo?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Voxzogo, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Voxzogo sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Voxzogo sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

## **Alte informații despre Voxzogo**

Voxzogo a primit o autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 26 august 2021.

Informații suplimentare cu privire la Voxzogo sunt disponibile pe site-ul agenției:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/voxzogo).

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 10-2023.