



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Voxzogo (*vosoritida*)

Información general sobre Voxzogo y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Voxzogo y para qué se utiliza?

Voxzogo es un medicamento indicado para el tratamiento de la acondroplasia en pacientes a partir de 4 meses de edad cuyos huesos siguen creciendo.

La acondroplasia es una enfermedad hereditaria causada por una mutación (cambio) en un gen denominado receptor 3 del factor de crecimiento de fibroblastos (*FGFR3*). La mutación afecta al crecimiento de casi todos los huesos del organismo, incluidos el cráneo, la columna vertebral, los brazos y las piernas, lo que da lugar a una estatura muy corta con un aspecto característico.

La acondroplasia es «rara», y Voxzogo fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 24 de enero de 2013. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3121094.

Voxzogo contiene el principio activo vosoritida.

¿Cómo se usa Voxzogo?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento con Voxzogo debe ser iniciado y supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de trastornos del crecimiento o del crecimiento anormal de los huesos.

Voxzogo se administra mediante una inyección subcutánea una vez al día, preferiblemente a la misma hora. La inyección debe administrarse cada vez en un sitio distinto. La dosis recomendada se calcula en función del peso corporal del paciente.

El tratamiento solo debe iniciarse cuando se haya confirmado la acondroplasia mediante pruebas genéticas y debe finalizarse cuando no sea probable que el paciente siga creciendo.

Las inyecciones de Voxzogo puede administrarlas el cuidador del paciente, siempre que se le haya enseñado a hacerlo correctamente.

Para mayor información sobre el uso de Voxzogo, consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Voxzogo?

En pacientes con acondroplasia, el gen *FGFR3*, que regula el crecimiento, está permanentemente «activado». Esto impide el crecimiento normal de los huesos, lo que hace que sean más cortos de lo habitual. El principio activo de Voxzogo, la vosoritida, actúa uniéndose a un receptor (diana) denominado receptor de péptidos natriuréticos de tipo B (NPR-B), que reduce la actividad del *FGFR3*. Esto estimula el crecimiento de los huesos, mejorando así los síntomas de la enfermedad.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Voxzogo en los estudios realizados?

En un estudio en el que participaron 121 pacientes pediátricos de 5 a 17 años con acondroplasia confirmada, Voxzogo fue más eficaz que el placebo (tratamiento ficticio) para aumentar la tasa de crecimiento al cabo de 52 semanas de tratamiento. Los niños que recibieron Voxzogo crecieron aproximadamente 1,57 cm más durante el año de tratamiento que los que recibieron placebo. Además, los resultados indican que la mejora del crecimiento se mantiene.

Voxzogo fue más eficaz que el placebo para aumentar la tasa de crecimiento en un segundo estudio en el que participaron 75 niños de entre 4 meses y menos de 5 años con acondroplasia confirmada. El criterio principal de valoración de la eficacia fue el cambio en la puntuación Z de la estatura, una medida que compara la estatura del paciente con la media esperada para su edad y su género. Al cabo de un año de tratamiento, los niños a los que se administró Voxzogo mostraron, por término medio, una mayor mejoría en la puntuación Z de la estatura que los que recibieron placebo. Los niños que recibieron Voxzogo también crecieron aproximadamente 0,8 cm más durante el año de tratamiento que los que recibieron placebo.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Voxzogo?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Voxzogo se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Voxzogo (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son reacciones en el lugar de la inyección (como hinchazón, enrojecimiento, picor o dolor), vómitos y disminución de la presión arterial.

¿Por qué se ha autorizado Voxzogo en la UE?

Voxzogo es eficaz para aumentar la tasa de crecimiento de los niños con acondroplasia a partir de 4 meses. Esto puede aumentar la estatura final, permitiendo a las personas con acondroplasia realizar las actividades diarias con mayor facilidad. Los efectos adversos de este medicamento se consideraron controlables. El perfil de seguridad en los niños menores de 5 años es similar al de los niños de más edad. La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Voxzogo son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Voxzogo?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Voxzogo se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Voxzogo se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Voxzogo son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Voxzogo

Voxzogo recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 26 de agosto de 2021.

Puede encontrar información adicional sobre Voxzogo en la página web de la Agencia:

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

Fecha de la última actualización del presente resumen: 10-2023.