



## Vosoritide (VOXZOGO®)

L'indication et le suivi du traitement par vosoritide doivent être proposés, initiés et suivis par un spécialiste de l'achondroplasie (pédiatre, généticien, endocrinologue, rhumatologue, Filière maladies rares OSCAR). Ce traitement médicamenteux s'intègre dans la prise en charge globale et multidisciplinaire de la pathologie ([Calendrier de suivi\\_Achondroplasie.pdf](#)).

### MÉCANISME D'ACTION



- Le vosoritide est un analogue modifié du CNP, qui se lie au récepteur NPR-B, et favorise l'ossification endochondrale en modulant la voie de signalisation du récepteur FGFR3
- Il a été montré que le vosoritide améliore la vitesse de croissance et la taille des patients présentant une achondroplasie causée par un variant spécifique du gène FGFR3 (G380R) entraînant une activation constitutive du récepteur FGFR3

### CONTRE-INDICATIONS



- Hypersensibilité au vosoritide ou excipients

### INDICATIONS



- Le vosoritide (VOXZOGO®) a obtenu l'AMM le 26 août 2021 dans l'indication « traitement de l'achondroplasie chez les patients âgés d'au moins 2 ans et dont les épiphyses ne sont pas soudées, le diagnostic de l'ACH doit être confirmé par un test génétique approprié. »

### EFFETS INDÉSIRABLES POSSIBLES



- Manifestation allergique dont la réaction cutanée au site d'injection
- Hypotension, vertige, malaise dans les 30 minutes suivant l'injection
- Hypertrichose (rare)

### PRÉCAUTIONS PARTICULIÈRES







- **Information détaillée donnée à la famille/responsable de l'autorité parentale**, en consultation pré-thérapeutique, avec principes d'utilisation, de transport et de conservation
- **Vérification de la confirmation génétique et de la prise en charge en ALD**
- **Bilan pré-thérapeutique conseillé** en plus des examens du calendrier de suivi conventionnel :
  - Âge osseux
  - NFS, ionogramme sanguin, TGO-TGP, bilan phosphocalcique sanguin et urinaire (créatinine, calcémie, phosphatémie, PAL, PTH, 25 vitamine D, calcium/créatinine urinaire sur une miction)
- **Commande en pharmacie de ville** avec le document d'information pour le pharmacien ([Courrier VOXZOGO\\_Lettre Pharmacien Officine\\_Novembre 2024.pdf](#)) sur une ordonnance en ALD
- **Conservation :**
  - Au réfrigérateur (entre 2 °C et 8 °C) à l'abri de la lumière, et ne doit pas être congelé
  - Peut être conservé à une température ambiante inférieure à 30 °C pendant une seule période de 90 jours au maximum, mais pas au-delà de la date de péremption. Ne pas le remettre au réfrigérateur après l'avoir conservé à température ambiante
- **Démarrage du traitement :**
  - Information détaillée (principes et objectifs du traitement, suivi clinique et paraclinique...) redonnée à la famille ou au responsable de l'autorité parentale
  - Formation aux injections par les infirmières (<https://www.vosoritideinjection.com/fr-fr/>) et 1<sup>ère</sup> injection en milieu hospitalier, prescription possible d'une infirmière à domicile pour le premier mois de traitement
  - **Pour réduire les manifestations d'une éventuelle baisse de la pression artérielle après l'injection, il est recommandé de boire et manger environ 30 minutes avant l'injection et de rester au repos après l'injection**
  - Injection réalisée à une heure régulière (plutôt le soir) ; pas d'interruption du traitement
- **Bilan initial et suivi :**
  - Fréquence des consultations : tous les 3 à 6 mois en fonction de l'âge et de la sévérité de la maladie. Il est possible de proposer une première (télé)-consultation à M1 ou M3 après l'initiation
  - À chaque consultation : compliance et tolérance au traitement, prise des constantes (FC et TA) et des mensurations (taille et poids avec calcul de l'IMC envergure et taille assise, PC)
  - Proposition de bilan annuel :
    - Âge osseux
    - NFS, ionogramme sanguin, TGO-TGP, bilan phosphocalcique sanguin et urinaire (créatinine, calcémie, phosphatémie, PAL, PTH, 25 vitamine D, calcium/créatinine urinaire sur une miction)

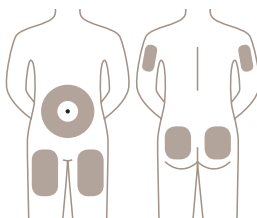
## PROCÉDURE D'ADMINISTRATION



- Injection par voie sous-cutanée quotidienne à la **posologie moyenne de 15 µg/kg/jour**
- **Produit fourni sous forme de poudre lyophilisée dans des flacons à dose unique avec de l'eau stérile pour injection (EPPI)** en tant que solvant dans des seringues pré-remplies. La boîte de vosoritide comprend également deux accessoires, une aiguille de transfert de solvant pour la reconstitution du produit et une seringue d'administration graduée en Unités (U) typiquement utilisée pour l'insuline (0,1 mL = 10 U)
- **3 CONDITIONNEMENTS**
  - Vosoritide 0,4 mg solvant (EPPI) : 0,5 ml concentration : **0,8 mg/mL**
  - Vosoritide 0,56 mg solvant (EPPI) : 0,7 ml concentration : **0,8 mg/mL**
  - Vosoritide 1,2 mg solvant (EPPI) : 0,6 ml concentration : **2 mg/mL**
- **Aiguille du solvant et seringues d'administration actuelles et nouvelles**

ÂGES	COMPOSANT ACTUEL	NOUVEAU COMPOSANT
AIGUILLE DU SOLVANT : BOUCLIER DE SÉCURITÉ		
SERINGUE D'ADMINISTRATION : MARQUAGE DE LA GRADUATION		

- **Sites d'injection habituels**  
(arrière du haut du bras, abdomen, cuisses, partie supérieure des fesses)



- **Tableau de dose** : volume des prises uniques par poids corporel en mL et unité (U)

POIDS CORPOREL (kg)	DOSE (mg)	VOSORITIDE 0,4 mg CONCENTRATION : 0,8 mg/mL		VOSORITIDE 0,56 mg CONCENTRATION : 0,8 mg/mL		VOSORITIDE 1,2 mg CONCENTRATION : 2 mg/mL	
		mL	Unités	mL	Unités	mL	Unités
4	0,12 mg	0,15 mL	15 U				
5	0,16 mg	0,20 mL	20 U				
6-7	0,20 mg	0,25 mL	25 U				
8-11	0,24 mg	0,30 mL	30 U				
12-16	0,28 mg			0,35 mL	35 U		
17-21	0,32 mg			0,40 mL	40 U		
22-32	0,40 mg			0,50 mL	50 U		
33-43	0,50 mg					0,25 mL	25 U
44-59	0,60 mg					0,30 mL	30 U
60-89	0,70 mg					0,35 mL	35 U
≥ 90	0,80 mg					0,40 mL	40 U

- En cas d'oubli d'une dose, il n'est **pas nécessaire de la rattraper sur les injections suivantes**

### SITE INTERNET OSCAR



### RÉFÉRENCES

- Consensus Guidelines for the Use of Vosoritide in Children with Achondroplasia in Australia. Tofts L, Ireland P, Tate T, Raj S, Carroll T, Munns CF, Knipe S, Langdon K, McGregor L, McKenzie F, Zankl A, Savarirayan R. Children (Basel). 2024 Jun 28;11(7):789. doi: 10.3390/children11070789. PMID: 39062238 Free PMC article.

- Vosoritide Therapy in Children with Achondroplasia: Early Experience and Practical Considerations for Clinical Practice. Semler O, Cormier-Daire V, Lausch E, Bober MB, Carroll R, Sousa SB, Deyle D, Faden M, Hartmann G, Huser AJ, Legare JM, Mohnike K, Rohrer TR, Rutsch F, Smith P, Travessa AM, Verardo A, White KK, Wilcox WR, Hoover-Fong J. Adv Ther. 2024 Jan;41(1):198-214. doi: 10.1007/s12325-023-02705-9. Epub 2023 Oct 26. PMID: 37882884 Free PMC article