



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHESE D'AVIS 15 DECEMBRE 2021

vosoritide
VOXZOGO 0,4 mg, 0,56 mg et 1,2 mg, solution pour injection

Première évaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement de l'achondroplasie chez les patients âgés de 2 ans et plus et dont les épiphyses ne sont pas soudées. Le diagnostic d'achondroplasie doit être confirmé par un dépistage génétique approprié.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge actuelle des patients atteints d'achondroplasie.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Place du médicament

La spécialité VOXZOGO (vosoritide), en injection sous-cutanée quotidienne, est le premier traitement ayant l'AMM dans le traitement de l'achondroplasie.

Il s'agit d'un traitement de première intention chez les patients âgés de 2 ans et plus atteints d'achondroplasie et dont les épiphyses ne sont pas soudées. Il devrait être instauré le plus précocement possible. Selon le RCP, ce médicament doit être arrêté dès que la croissance est achevée.

VOXZOGO (vosoritide) doit être instauré et suivi par un médecin spécialisé dans la prise en charge des troubles de la croissance ou des dysplasies squelettiques.

Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence
disponible sur www.has-sante.fr