

ЧАСТИНА VI: РЕЗЮМЕ ПЛАНУ УПРАВЛІННЯ РИЗИКАМИ

Резюме плану управління ризиками для препарату Воксзого (восоритид)

Це резюме плану управління ризиками (ПУР) для лікарського засобу Воксзого. У ПУР наведена детальна інформація щодо важливих ризиків при застосуванні лікарського засобу Воксзого, яким чином ці ризики можуть бути мінімізовані, і яким чином можливо отримати більше інформації про ризики та невідому інформацію (відсутня інформація) при застосуванні лікарського засобу Воксзого.

У короткій характеристиці лікарського засобу (КХЛЗ) та інструкції для медичного застосування лікарського засобу Воксзого наведена необхідна інформація для медичних працівників та пацієнтів щодо застосування лікарського засобу Воксзого.

Це резюме ПУРу для лікарського засобу Воксзого слід читати в контексті всієї цієї інформації, включно зі звітом з оцінки та його резюме, викладеного доступною мовою, які є частиною європейського публічного звіту з оцінки (EPAR).

Важливі нові проблеми з безпеки або зміни до поточних проблем будуть включені в оновлення ПУРу для лікарського засобу Воксзого.

I. Лікарський засіб та для чого він застосовується

Наразі лікарський засіб Воксзого показаний для лікування ахондроплазії у пацієнтів віком від 4 місяців, епіфізи яких не закриті (повну інформацію про показання див. у КХЛЗ). Цей лікарський засіб містить восоритид як діючу речовину і вводиться шляхом щоденних підшкірних ін'єкцій.

Більш детальну інформацію про оцінку користі лікарського засобу Воксзого можна знайти в EPAR препарату Воксзого, у тому числі в його короткому викладі простою мовою, доступному на веб-сайті ЕМА на веб-сторінці цього лікарського засобу:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/voxzogo>

II. Ризики, пов'язані із застосуванням лікарського засобу та заходи з мінімізації або подальшого опису ризиків

Важливі ризики лікарського засобу Воксзого, разом із заходами для мінімізації цих ризиків та пропонувані дослідження для подальшого вивчення ризиків лікарського засобу Воксзого, описані в наступних розділах.

Заходами з мінімізації ризиків, ідентифікованих для лікарського засобу, можуть бути:

- специфічна інформація, така як застереження, запобіжні заходи, та поради щодо правильного застосування, наведені в інструкції для медичного застосування, листку-вкладиші та КХЛЗ для медичних працівників та пацієнтів;
- важливі поради, що вказані на упаковці лікарського засобу;
- затверджений розмір упаковки – кількість препарату в упаковці вибрана таким чином, щоб забезпечити правильне використання лікарського засобу;
- рецептурний статус препарату – спосіб, яким препарат розповсюджений серед пацієнтів (тобто за рецептом чи без рецепту), що може допомогти мінімізувати його ризики.

Разом ці заходи складають *рутинні заходи з мінімізації ризиків*.

БіоМарин Інтернешнл Лімітед, Ірландія	ПУР версія 3.4 – 14 вересня 2023 р.	Сторінка 2
---------------------------------------	-------------------------------------	------------

Додатково до цих заходів відбувається постійний збір інформації про побічні реакції і проводиться їх регулярний аналіз, включно з оцінкою регулярних звітів з оцінки співвідношення користь/ризик (PBRERs). Таким чином за необхідності можуть бути вжиті негайні заходи. Ці заходи складають *рутинні заходи з фармаконагляду*.

Якщо важлива інформація, яка може вплинути на безпечне застосування лікарського засобу Воксзого ще відсутня, ця інформація зазначена нижче під заголовком «відсутня інформація».

II.A Перелік важливих ризиків та відсутня інформація

Важливі ризики при застосуванні лікарського засобу Воксзого – це ризики, для яких необхідні спеціальні заходи з управління ризиками з метою подальшого вивчення або мінімізації ризику, для безпечного застосування препарату. Важливі ризики можуть бути розцінені як ідентифіковані або потенційні. Ідентифіковані ризики – це проблеми, для яких наявні достатні докази зв'язку із застосуванням лікарського засобу Воксзого. Потенційні ризики – це проблеми, для яких зв'язок із даним лікарським засобом є можливим на основі наявних даних, однак цей зв'язок ще не є встановленим і потребує подальшої оцінки. Відсутня інформація – це інформація з безпеки лікарського засобу, яка на даний час відсутня, і яку потрібно зібрати (наприклад, щодо довготривалого застосування лікарського засобу).

Перелік важливих ризиків та відсутньої інформації	
Важливі ідентифіковані ризики	Немає
Важливі потенційні ризики	Помилка в лікуванні, пов'язана зі зміною типу шприца
Важлива відсутня інформація	<ul style="list-style-type: none"> • Довгострокова безпека, зокрема вплив на скелетну систему, такий як порушення функції кінцівок і суглобів, та імуногенний потенціал • Застосування в період вагітності • Застосування пацієнтам віком від 4 місяців до 5 років

II.B Резюме важливих ризиків

Важливий потенційний ризик: Помилка в лікуванні, пов'язана зі зміною типу шприца	
Заходи з мінімізації ризику	<p><u>Рутинні заходи з мінімізації ризику</u> КХЛЗ та Інструкція для медичного застосування Введення нової таблиці дозування в розділ 4.2 КХЛЗ; Інструкція для медичного застосування лікарського засобу, Розділ «Спосіб застосування та дози», а також додавання нового документа з інструкцією з використання, що ілюструє нові пристрої, які входять до комплекту.</p> <p><u>Інші рутинні заходи з мінімізації ризиків, крім інформації про продукт</u> Лікарський засіб, що відпускається тільки за рецептом лікаря: Лікування препаратом Воксзого повинен розпочинати та контролювати лікар, який має відповідну</p>

БіоМарин Інтернешнл Лімітед, Ірландія	ПУР версія 3.4 – 14 вересня 2023 р.	Сторінка 3
---------------------------------------	-------------------------------------	------------

	<p>кваліфікацію в лікуванні порушень росту або скелетних дисплазій.</p> <p><u>Додаткові заходи з мінімізації ризику</u> *Інформаційний лист-звернення до спеціалістів системи охорони здоров'я (DHPC): *Інформаційний лист-звернення є єдиним додатковим заходом мінімізації ризику, який використовується для безпосереднього інформування медичних працівників про нові альтернативні компоненти <u>для введення препарату Воксзого.</u> *відповідні заходи в Україні не впроваджуються.</p>
Додаткові заходи з фармаконагляду	<u>Додаткові заходи з фармаконагляду</u> Немає.

Відсутня інформація: Довгострокова безпека, зокрема вплив на скелетну систему, такий як порушення функції кінцівок і суглобів, та імуногенний потенціал

Заходи з мінімізації ризику	<p><u>Рутинні заходи з мінімізації ризику</u> Лікарський засіб, що відпускається тільки за рецептом лікаря: Лікування препаратом Воксзого повинен розпочинати та контролювати лікар, який має відповідну кваліфікацію в лікуванні порушень росту або скелетних дисплазій.</p> <p><u>Додаткові заходи з мінімізації ризику</u> Немає.</p>
Додаткові заходи з фармаконагляду	<u>Додаткові заходи з фармаконагляду</u> Поточні клінічні дослідження 111-205, 111-208, 111-302, 111-209 та поточне дослідження PASS 111-603.

Відсутня інформація: Застосування в період вагітності

Заходи з мінімізації ризику	<p><u>Рутинні заходи з мінімізації ризику</u> КХЛЗ – розділи 4.6, 5.3; Інструкція для медичного застосування лікарського засобу, Розділи «Застосування у період вагітності або годування груддю» та «Фармакологічні властивості. Доклінічні дані з безпеки»</p> <p>Листок-вкладка – розділ 2 Лікарський засіб, що відпускається тільки за рецептом лікаря: Лікування препаратом Воксзого повинен розпочинати та контролювати лікар, який має відповідну кваліфікацію в лікуванні порушень росту або скелетних дисплазій.</p> <p><u>Додаткові заходи з мінімізації ризику</u> Немає.</p>
Додаткові заходи з фармаконагляду	<u>Додаткові заходи з фармаконагляду</u> Немає.

Відсутня інформація: Застосування пацієнтам віком від 4 місяців до 5 років

Заходи з мінімізації ризику	<p><u>Рутинні заходи з мінімізації ризику</u> КХЛЗ – розділи 4.8, 5.1, 5.2; Інструкція для медичного застосування лікарського засобу, Розділи «Побічні реакції», «Фармакологічні властивості. Фармакодинаміка» та «Фармакологічні властивості. Фармакокінетика»</p> <p>Листок-вкладка – немає. Лікарський засіб, що відпускається тільки за рецептом лікаря: Лікування препаратом Воксозо повинен розпочинати та контролювати лікар, який має відповідну кваліфікацію в лікуванні порушень росту або скелетних дисплазій.</p> <p><u>Додаткові заходи з мінімізації ризику</u> Немає.</p>
Додаткові заходи з фармаконагляду	<p><u>Додаткові заходи з фармаконагляду</u> Поточні клінічні дослідження 111-208 та 111-209, а також поточне дослідження PASS 111-603.</p>

II.C. План післяреєстраційного розвитку

II.C.1 Дослідження, що є умовою отримання реєстраційного посвідчення

Немає.

II.C.2 Інші дослідження в плані післяреєстраційного розвитку

Коротка назва дослідження	Мета дослідження
111-205	Оцінити довгострокову безпеку та ефективність
111-208	Оцінити довгострокову безпеку та ефективність
111-302	Оцінити довгострокову безпеку та ефективність
111-209	Оцінити безпеку та ефективність у дітей, яким може знадобитися операція з декомпресії шийного відділу спинного мозку.
111-603	Оцінити довгострокову безпеку у пацієнтів з ахондроплазією, які отримують лікування восоритидом.