

## COMITÉ PROVINCIAL DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS

### VOSORITIDE EN ACONDROPLASIA- Informe Respuesta Rápida \*-

**Autores: Álvarez, J.; Orueta, C; García C.**

#### 1- RESUMEN EJECUTIVO

**CONSULTA RECIBIDA:** Eficacia, seguridad, situación regulatoria y costos de administración de Vosoritide en acondroplasia.

Solicitante: Hospital Infantil – Humberto Notti- Servicio de Crecimiento y Desarrollo

**Contexto clínico:** La acondroplasia es la causa más frecuente de estatura baja desproporcionada. Se trata de una patología de herencia autosómica dominante, causada por una mutación en el gen FGFR3. Se estima una prevalencia mundial de 3.72 cada 100.000 nacidos vivos (enfermedad poco frecuente, Res.641/2021- Min. Salud). No existe tratamiento farmacológico, y la estrategia terapéutica está centrada en manejar las complicaciones (otitis media recurrente, trastornos respiratorios, estrechamiento de la columna lumbar y compresión de la médula espinal). Entre las opciones terapéuticas, la cirugía de alargamiento de extremidades es una opción luego de finalizado la etapa de crecimiento y la hormona de crecimiento no constituye una opción terapéutica. **La Tecnología:** Vosoritide

(Voxzogo<sup>®</sup> BioMarin Pharmaceutical's) es un análogo del péptidonatriurético tipo C, actúa uniéndose a un receptor (receptor del péptido natriurético tipo B (NPR-B)), que reduce la actividad de FGFR3, y promueve la proliferación y diferenciación de condrocitos y el crecimiento óseo endocondral. Dosis: 15 mg/kg/día una vez por día, vía (subcutánea)

**Situación regulatoria:** La Agencia europea EMA autorizó Vosoritide en 2021 para el tratamiento de la acondroplasia con epífisis no cerradas en niños mayores de 2 años. Fue considerado una droga huérfana en Europa. La FDA 2021 (noviembre) dio aprobación acelerada a Vosoritide para el tratamiento de la acondroplasia con epífisis abierta en niños mayores de 5 años; en Argentina ANMAT, **no se encuentra registrado. Eficacia y seguridad:** Una búsqueda bibliográfica sistematizada halló 8 ensayos clínicos, 6 en curso; 3 Evaluaciones de Tecnologías Sanitarias; 5 documentos entre Guía de Práctica Clínica (GPC, consensos y recomendaciones de calidad heterogénea. **Savarirayan y col 2020** es el ensayo clínico que dio origen a la autorización por parte de la FDA y EMA, junto al estudio de extensión del mismo autor.

Se trató de un estudio, doble ciego, de fase 3, controlado con placebo, 121 niños con acondroplasia con epífisis abierta, entre 5 a 18 años asignados al azar a uno de dos grupos de tratamiento: vosoritide (60) a 15 µg/kg/día vía subcutánea, comparado con placebo. La diferencia media ajustada en la velocidad de crecimiento anualizada entre los pacientes del grupo de vosoritide y el grupo de placebo fue de 1,57 cm/año a favor de vosoritide (IC95 % 1,22-1,93; p<0,0001). Eventos adversos: grupo vosoritide, 59 (98%) y grupo placebo, 60 (98%). Las Guías de Práctica Clínica (GPC y consensos terapéuticos no mencionan a vosoritide para el tratamiento de la acondroplasia con epífisis no cerradas. En marzo 2022 se publicó el Consenso Internacional de acondroplasia (aut. Savarirayan R y cols), que no menciona a Vosoritide entre sus recomendaciones.

**Recomendaciones y políticas de cobertura:** NICE no ha emitido informe sobre la droga, reservando su evaluación y recomendación para el año 2023, considerando que no es apropiado evaluarlo en este momento. En Argentina, un informe de ETS (Colaci<sup>13</sup> y col.), indica

## COMITÉ PROVINCIAL DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS

que vosoritide, con evidencia de baja calidad, podría aumentar la velocidad de crecimiento aunque se desconoce si se sostiene en el tiempo, y presente mejoras en la supervivencia y/o calidad de vida. **Conclusiones:** La droga se encuentra en una etapa inicial de difusión, requiriéndose evidencia de mayor duración y con resultados relevantes a la condición de base, sobre todo lo referido a las complicaciones y calidad de vida de los pacientes. El costo sería elevado aunque por no comercializarse aún en el país es posible que se trate de una DROGA DE ALTO IMPACTO SANITARIO. No es posible realizar un Marco de Valor de la droga por tratarse de una TS no aprobada aún. Al momento **no SE RECOMIENDA** esta tecnología para la condición solicitada.

**FECHA DE REALIZACIÓN Y DICTAMEN: 12-8-22**

**FECHA DE PUBLICACIÓN: 5-9-22**