



Vosoritide

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.

MÉCANISME D'ACTION



- 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
- 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



AMM

Traitement de l'achondroplasie chez les patients âgés de 4 mois et dont les épiphyses ne sont pas soudées.

Diagnostic à confirmer 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, épiphysiolysse de hanche (rares)

PRÉCAUTIONS PARTICULIÈRES



AVANT LE TRAITEMENT

- **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)
- **Formation** aux injections par les infirmières (<https://www.vosoritideinjection.com/fr-fr/>) et 1^{ère} injection en milieu hospitalier, prescription possible d'une infirmière à domicile pour le premier mois de traitement
- **Commande en pharmacie de ville** avec le document d'information pour le pharmacien ([Télécharger le document](#)) sur une ordonnance en ALD

PENDANT LE TRAITEMENT

- Information détaillée (principes et objectifs du traitement, suivi clinique et paraclinique...) redonnée à la famille ou au responsable de l'autorité parentale
- **Pour réduire les manifestations d'une éventuelle baisse de la pression artérielle après l'injection. 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).

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).

PROCÉDURE D'ADMINISTRATION



Injection par voie sous-cutanée quotidienne à la **posologie moyenne de 15 µg/kg/jour**

- **Poudre lyophilisée dans flacons à dose unique avec de l'eau stérile pour injection (EPPI)** 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) (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		

CONSERVATION

- Réfrigérateur (entre 2°C et 8°C) à l'abri de la lumière. Ne pas congeler
- À conserver 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 remettre au réfrigérateur après conservation à température ambiante.

Sites d'injection habituels

(arrière du haut du bras, abdomen, cuisses, partie supérieure des fesses)

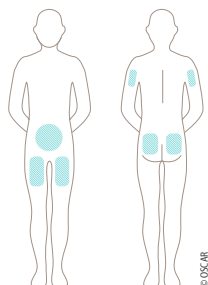


Tableau de dose : volume des prises uniques par poids corporel en mL et unité (U)

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

1. 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.

2. 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