

Acondroplasia

NOME _____

SEXO



DATA DE
NASCIMENTO

____ / ____ / ____

Nº DE REGISTRO
DO PACIENTE

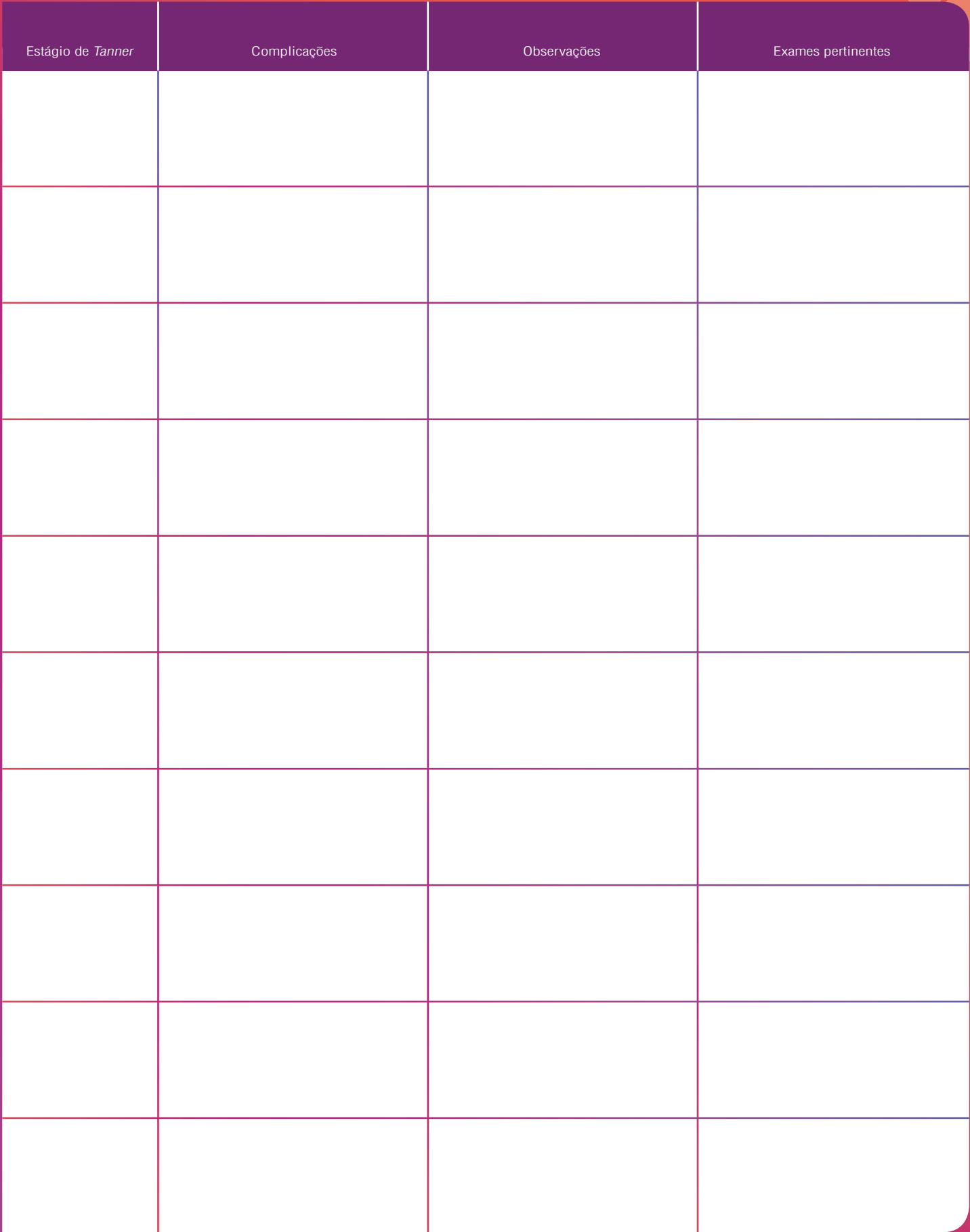
DATA DE INÍCIO
DO TRATAMENTO

____ / ____ / ____



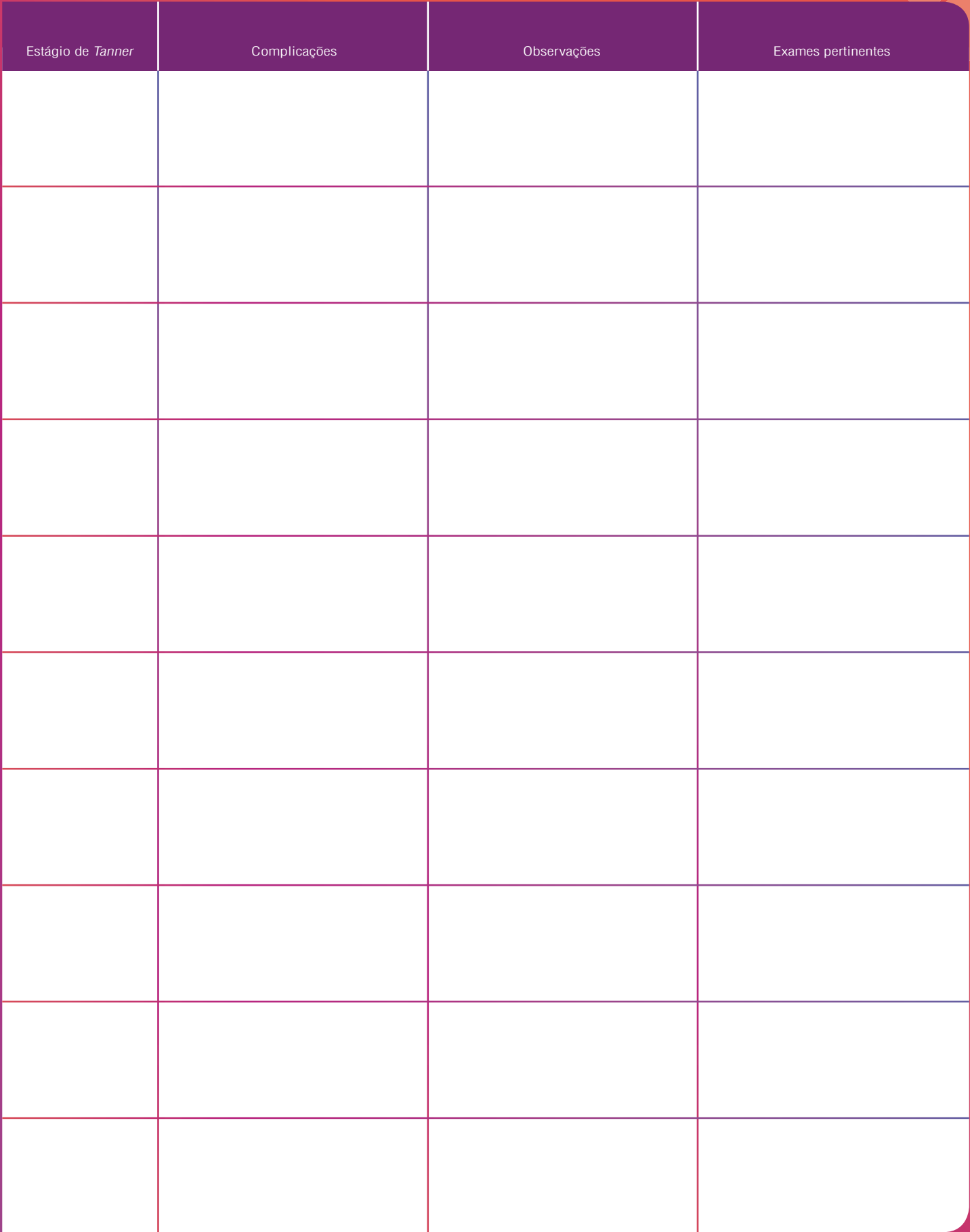
ACONDROPLASIA | Formulário de acompanhamento

Data da consulta	Idade cronológica (anos)	Idade óssea (anos)	Altura (cm)	VCA (cm/ano)	Peso (kg)	IMC (kg/m²)	AS (cm)	Envergadura (cm)	PC (cm)	DNPM



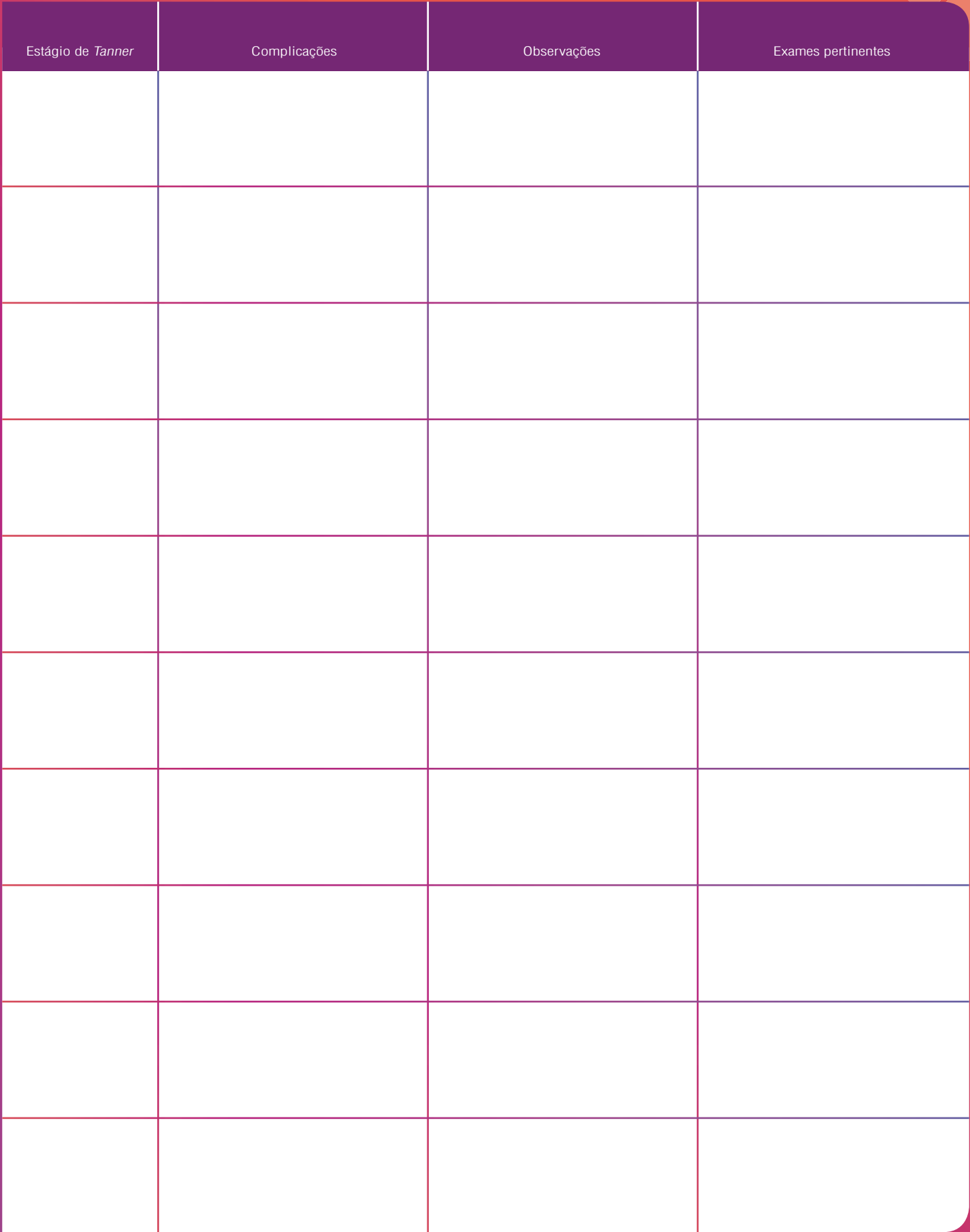
ACONDROPLASIA | Formulário de acompanhamento

Data da consulta	Idade cronológica (anos)	Idade óssea (anos)	Altura (cm)	VCA (cm/ano)	Peso (kg)	IMC (kg/m²)	AS (cm)	Envergadura (cm)	PC (cm)	DNPM



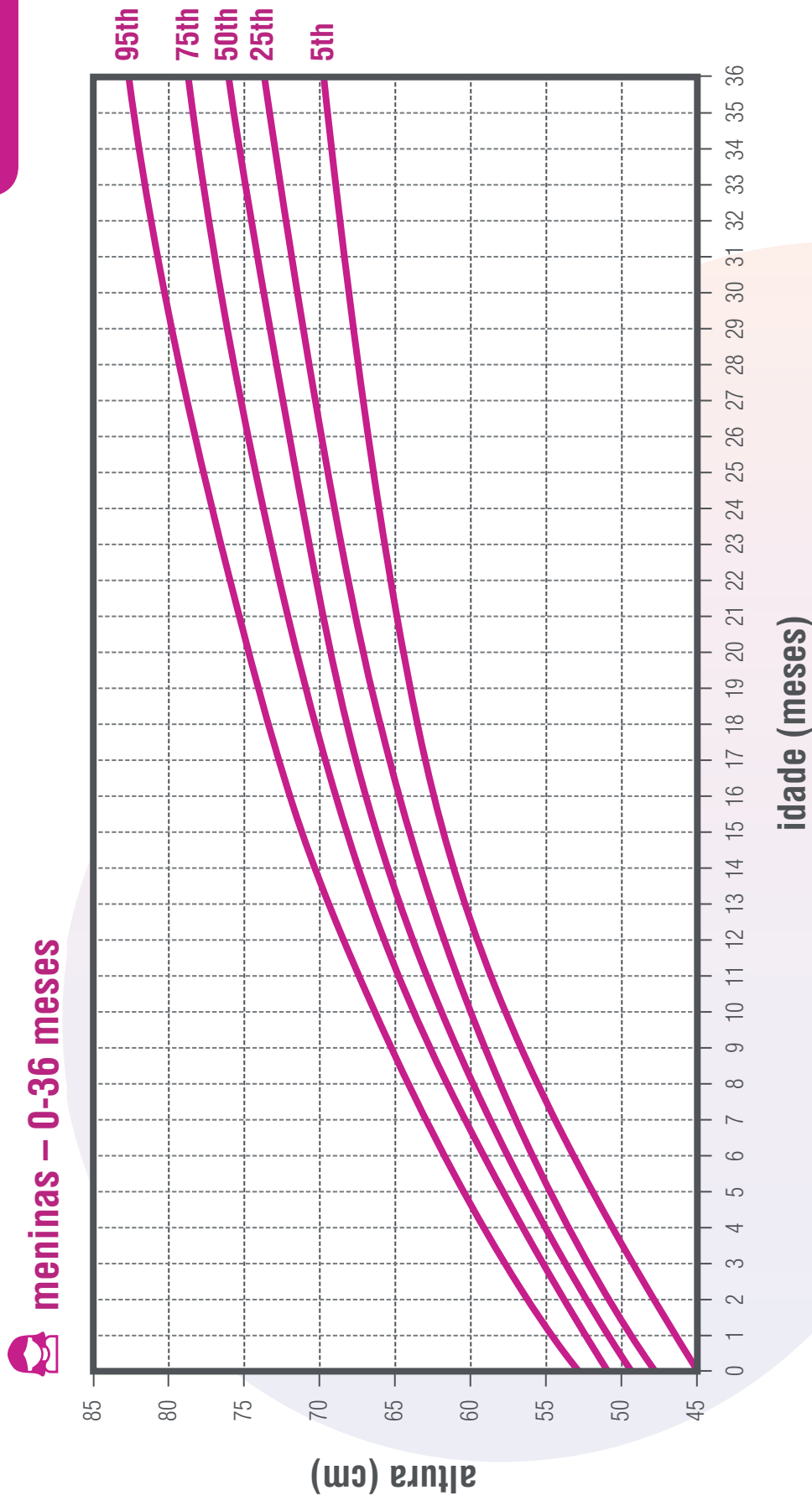
ACONDROPLASIA | Formulário de acompanhamento

Data da consulta	Idade cronológica (anos)	Idade óssea (anos)	Altura (cm)	VCA (cm/ano)	Peso (kg)	IMC (kg/m²)	AS (cm)	Envergadura (cm)	PC (cm)	DNPM



CURVAS DE CRESCIMENTO PARA PACIENTES COM ACONDROPLASIA

Estatura por idade



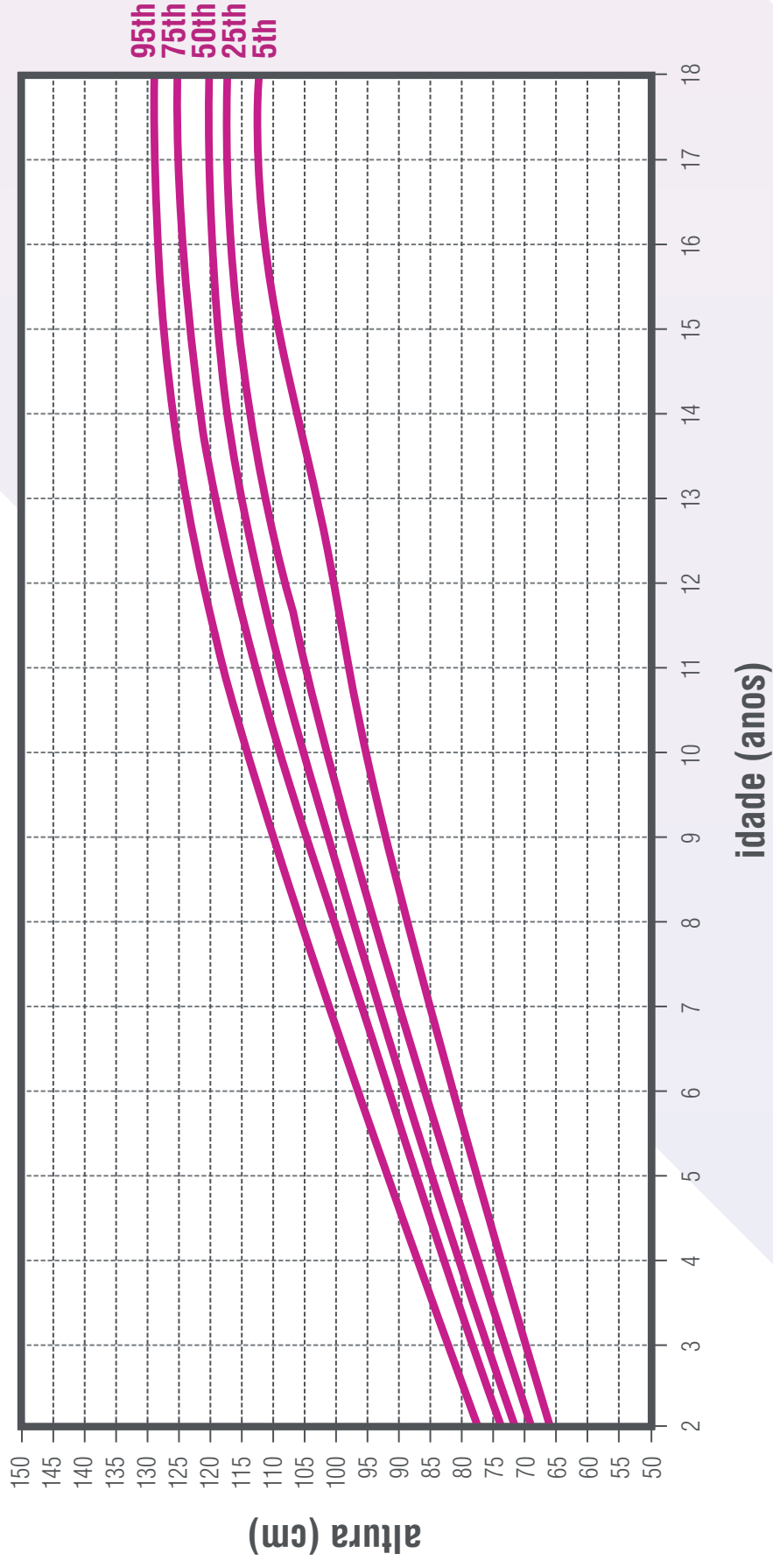
Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

Adaptada de Hoover-Fong JE et al, 2021.¹



meninas – 2-18 anos

Estatura por idade

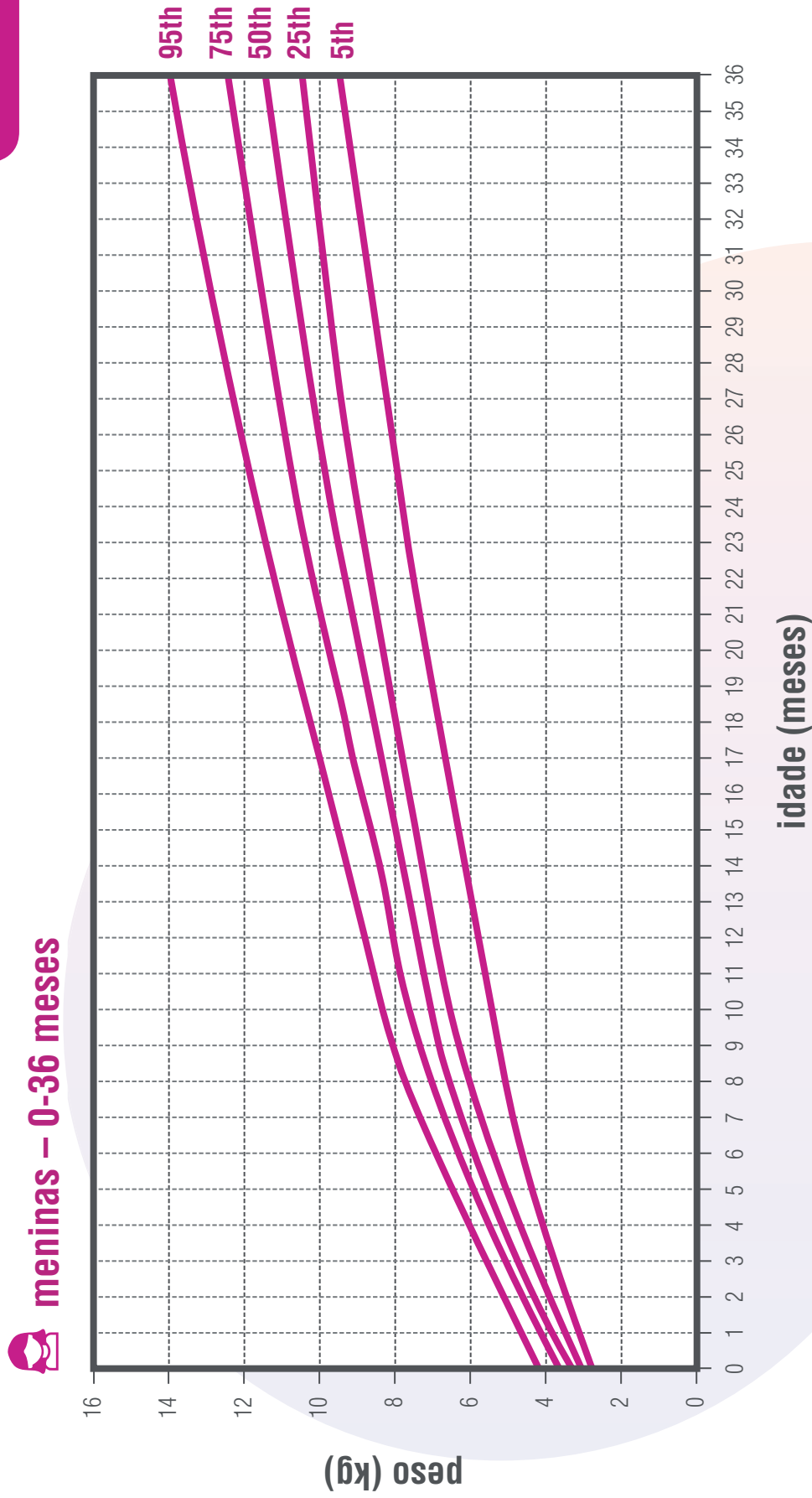


Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

Adaptada de Hoover-Fong JE et al, 2021.¹

CURVAS DE CRESCIMENTO PARA PACIENTES COM ACONDRÓPLASIA

Peso por idade



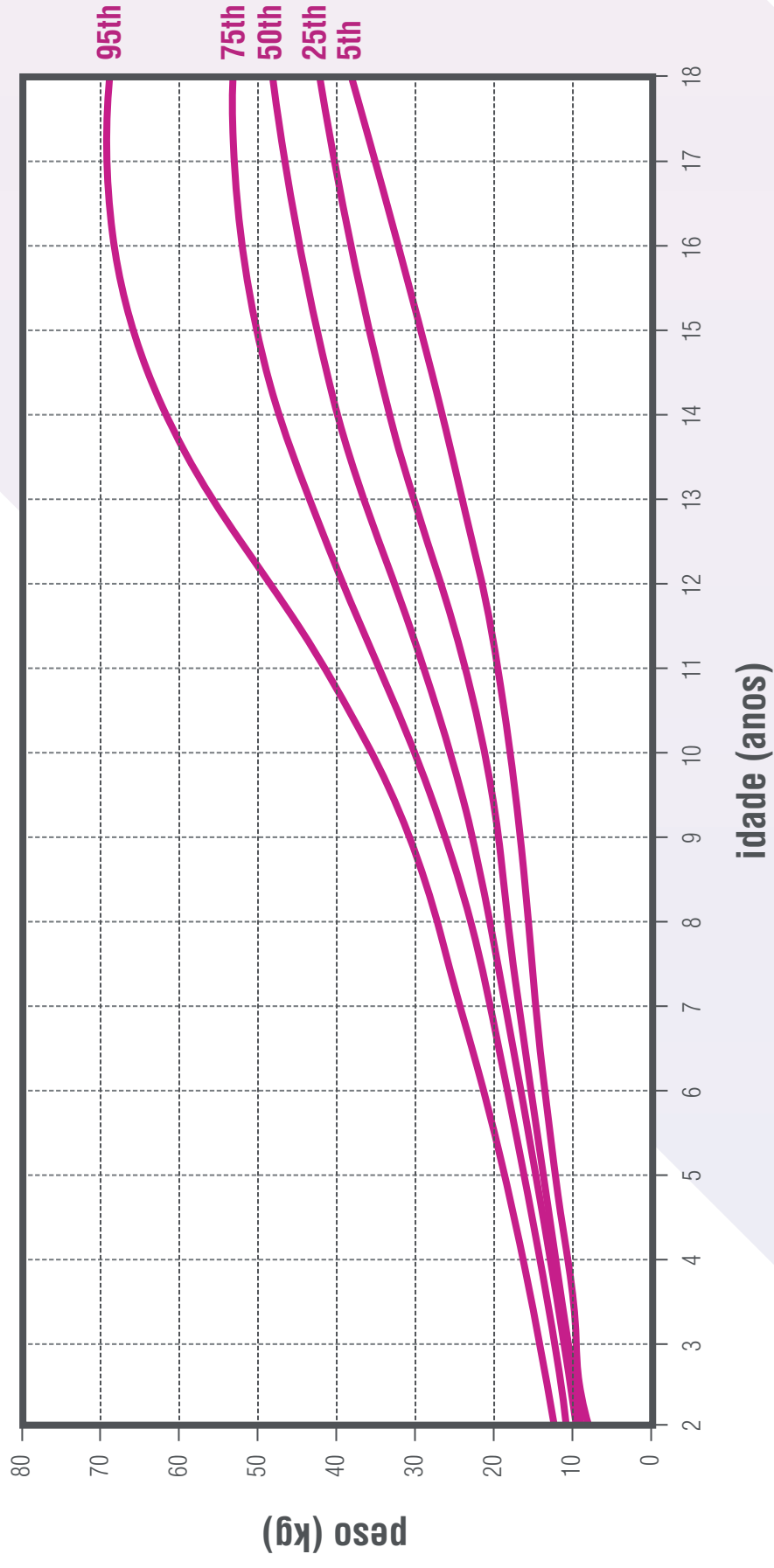
Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

Adaptada de Hoover-Fong JE et al, 2021.¹



meninas – 2-18 anos

Peso por idade

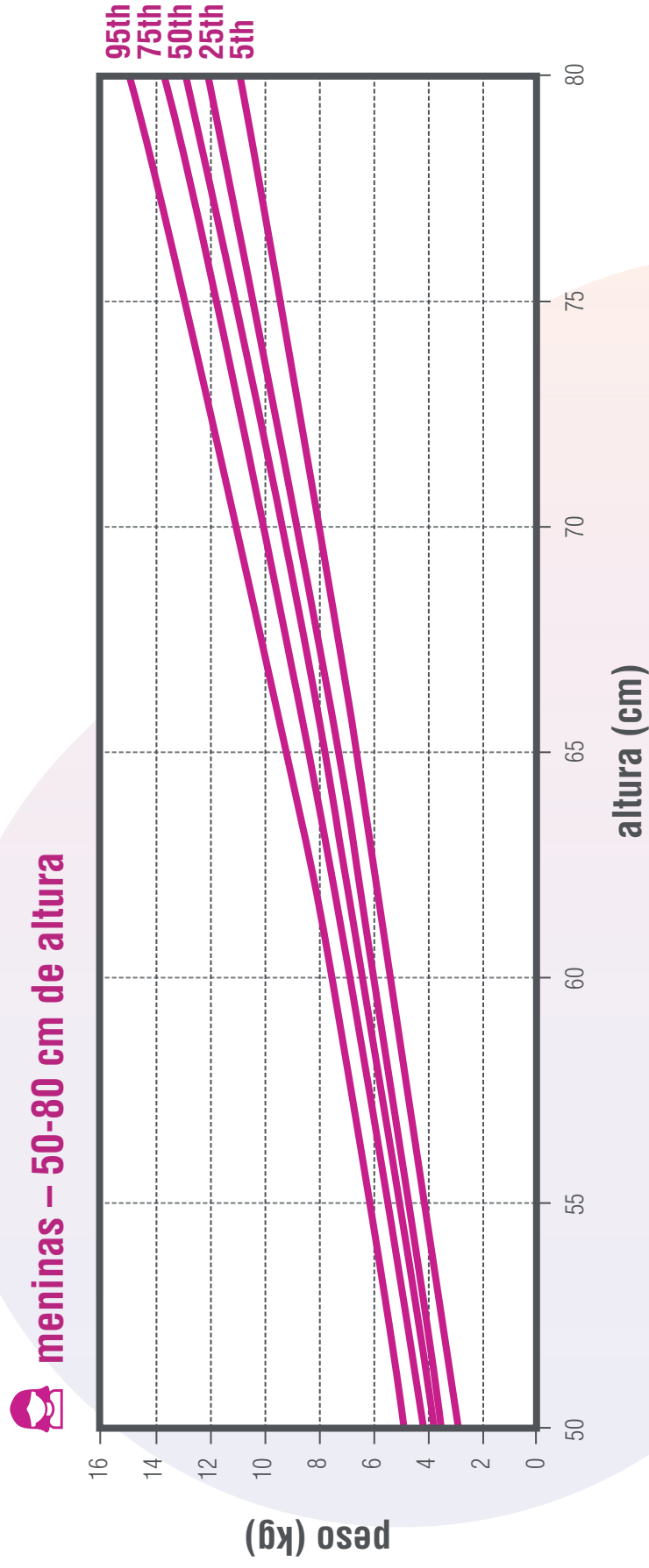


Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

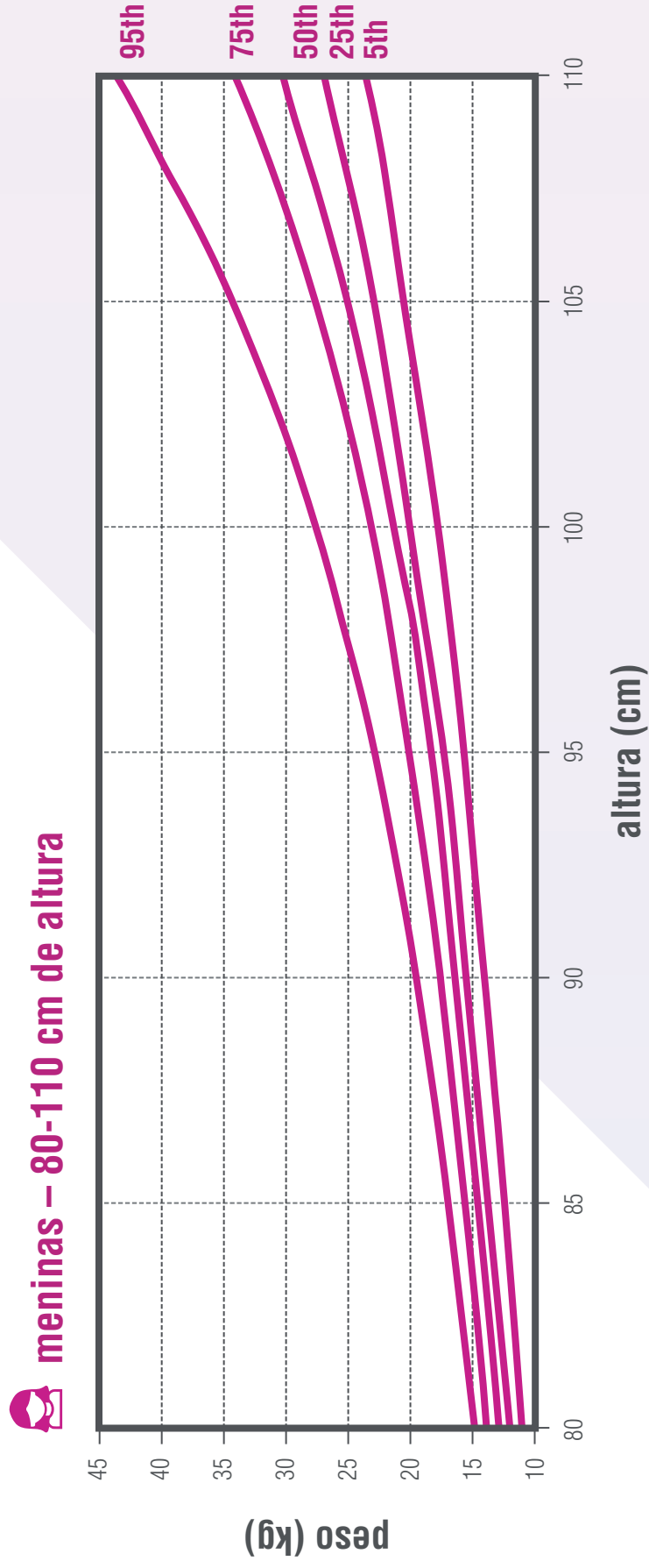
Adaptada de Hoover-Fong JE et al, 2021.¹

CURVAS DE CRESCIMENTO PARA PACIENTES COM ACONDROPLASIA

Peso por altura



Percentil 5th: $\text{score } Z < -2$. Percentil 25th: $\text{score } Z < -1$. Percentil 50th: $\text{score } Z = 0$. Percentil 75th: $\text{score } Z > +1$. Percentil 95th: $\text{score } Z > +2$.

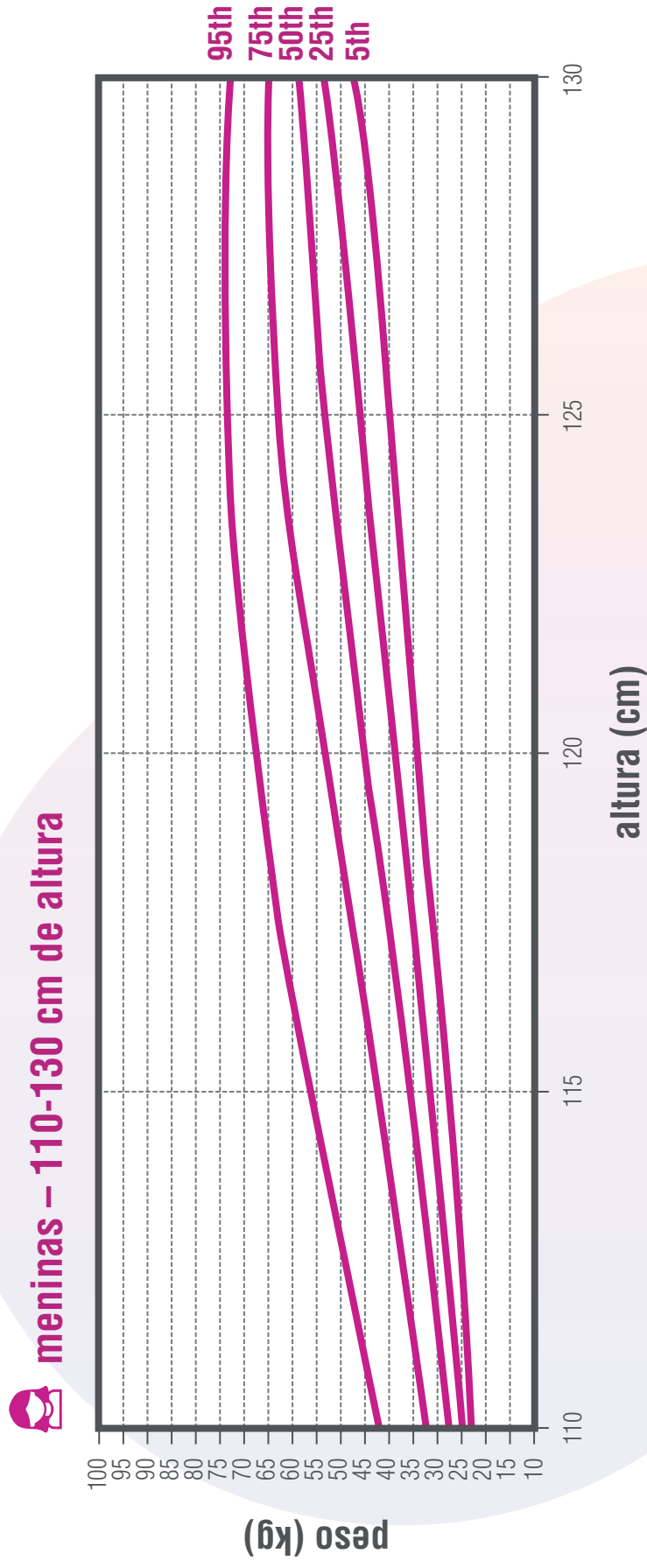


Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

Adaptada de Hoover-Fong JE et al, 2021.¹

CURVAS DE CRESCIMENTO PARA PACIENTES COM ACONDROPLASIA

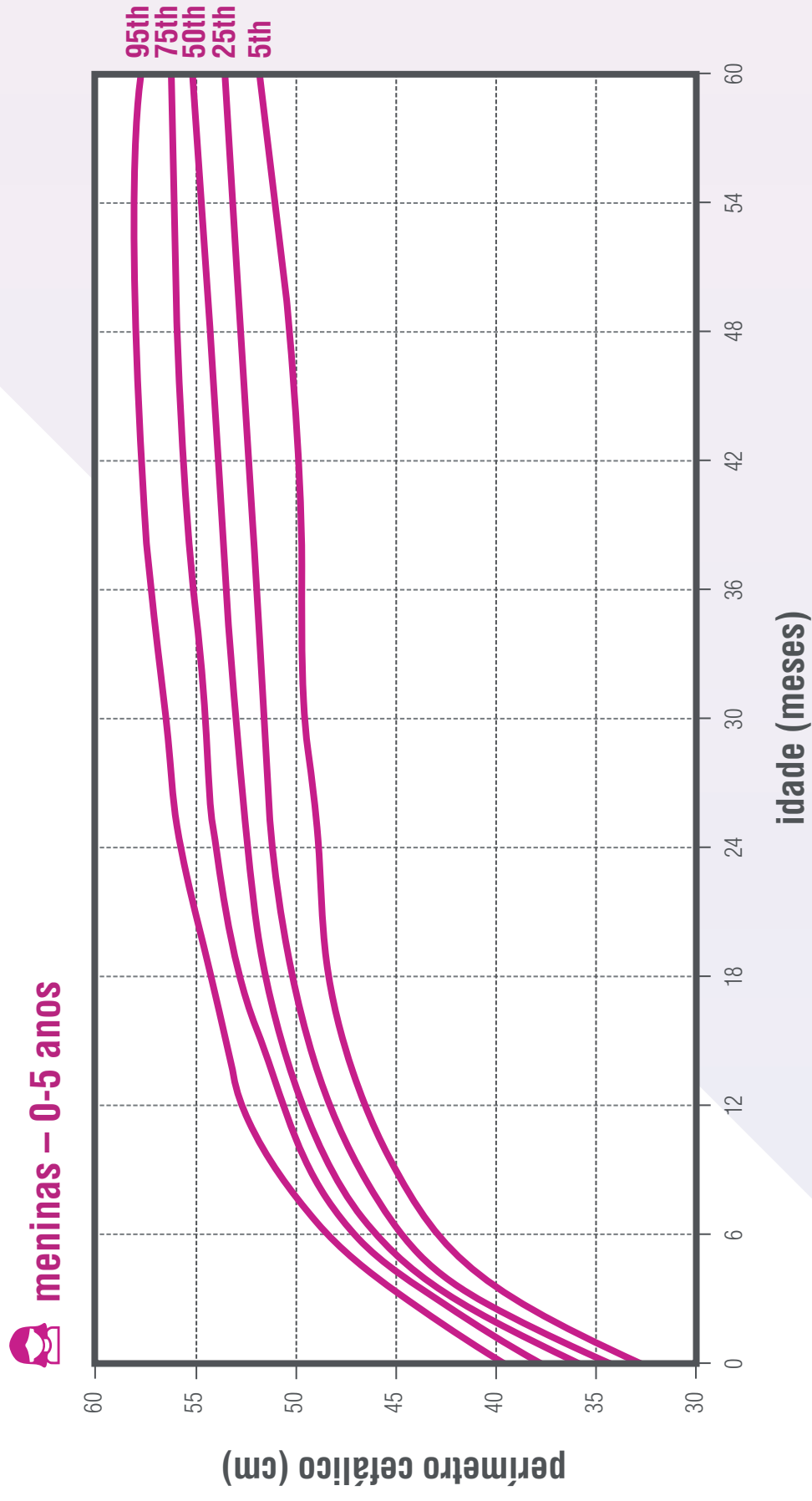
Peso por altura



Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

Adaptada de Hoover-Fong JE et al, 2021.¹

Perímetro cefálico por idade

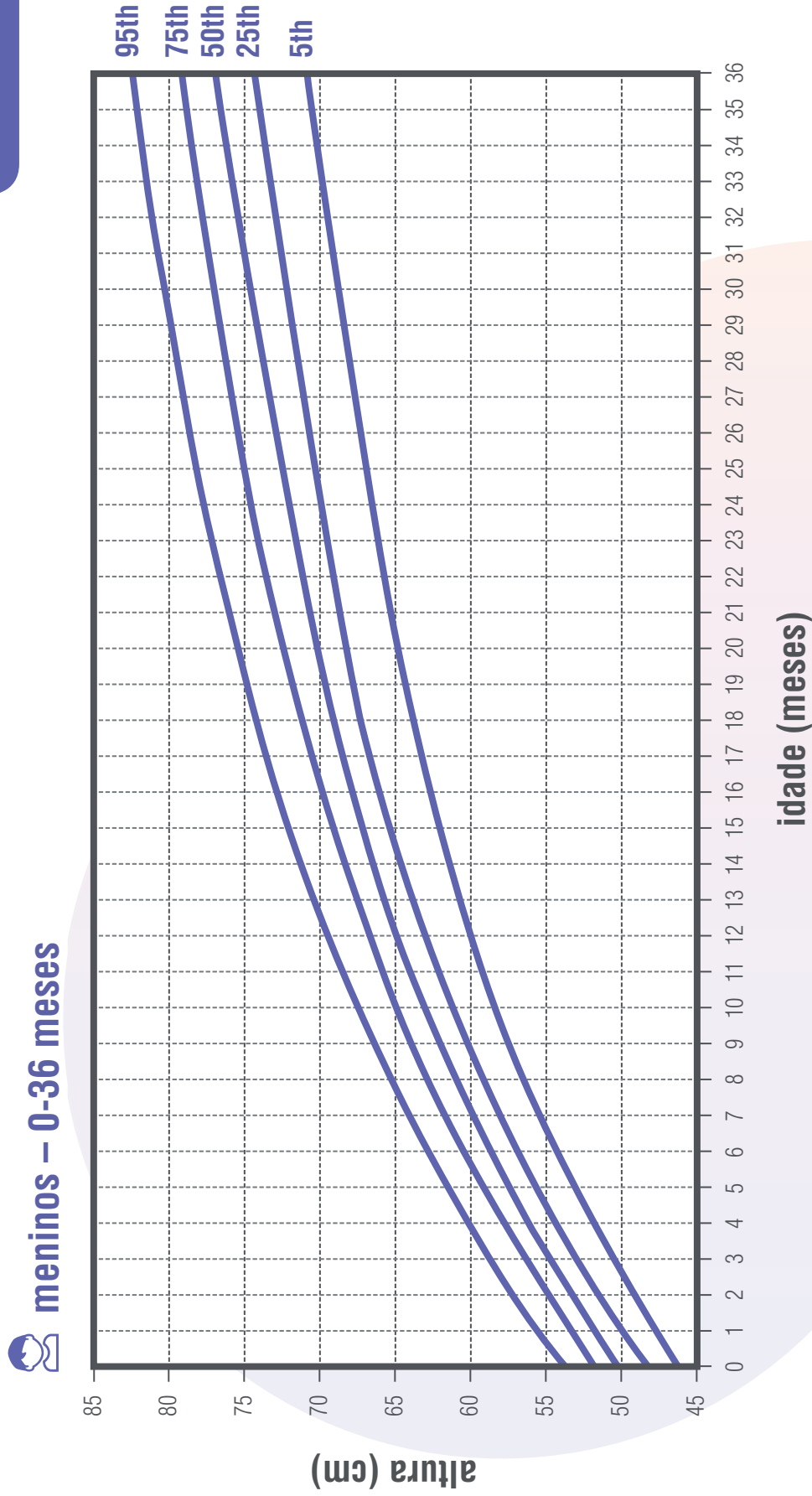


Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

Adaptada de Hoover-Fong JE et al, 2021.¹

CURVAS DE CRESCIMENTO PARA PACIENTES COM ACONDROPLASIA

Estatura por idade



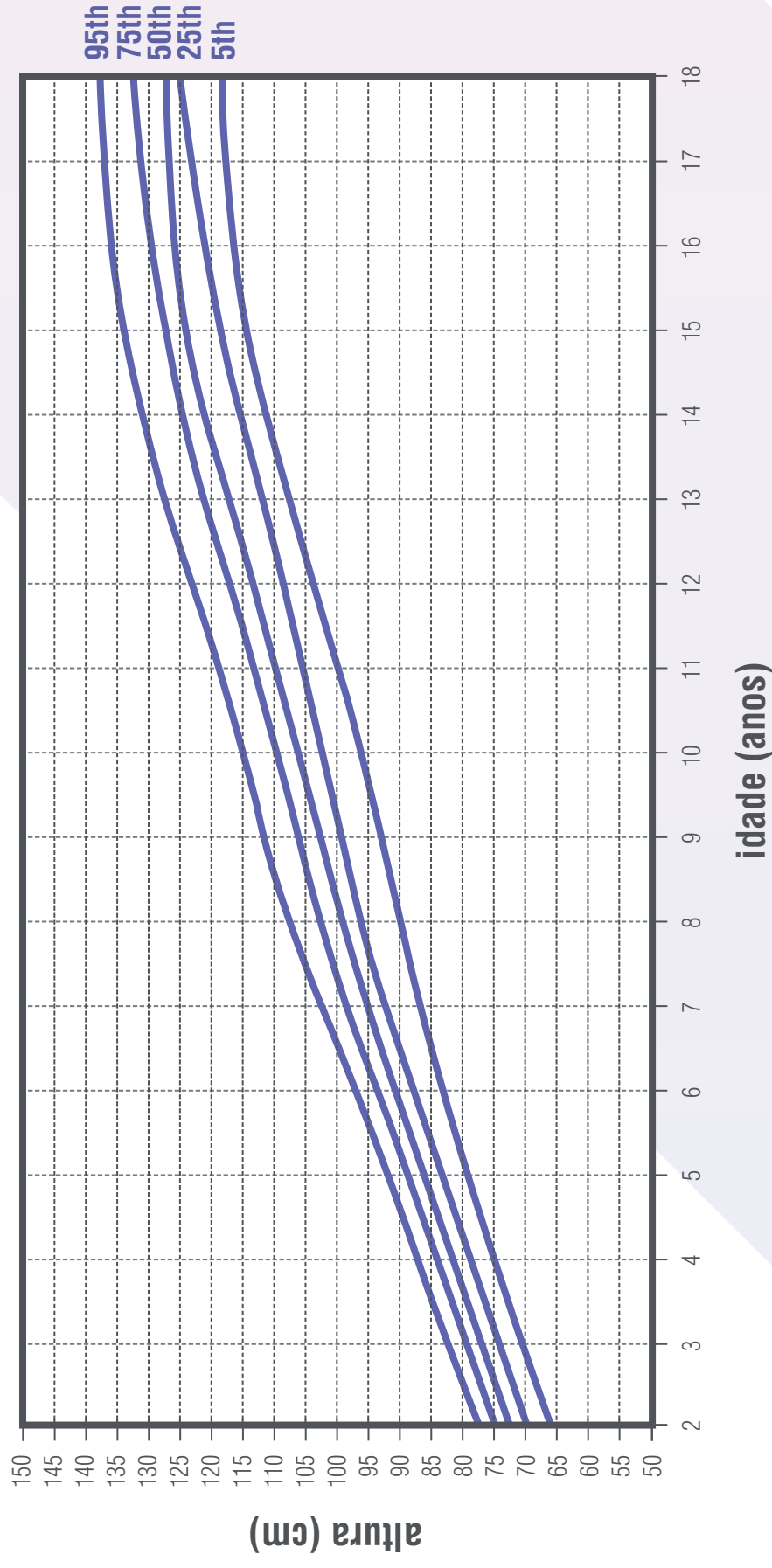
Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

Adaptada de Hoover-Fong, JE et al., 2021.¹



meninos – 2-18 anos

Estatura por idade

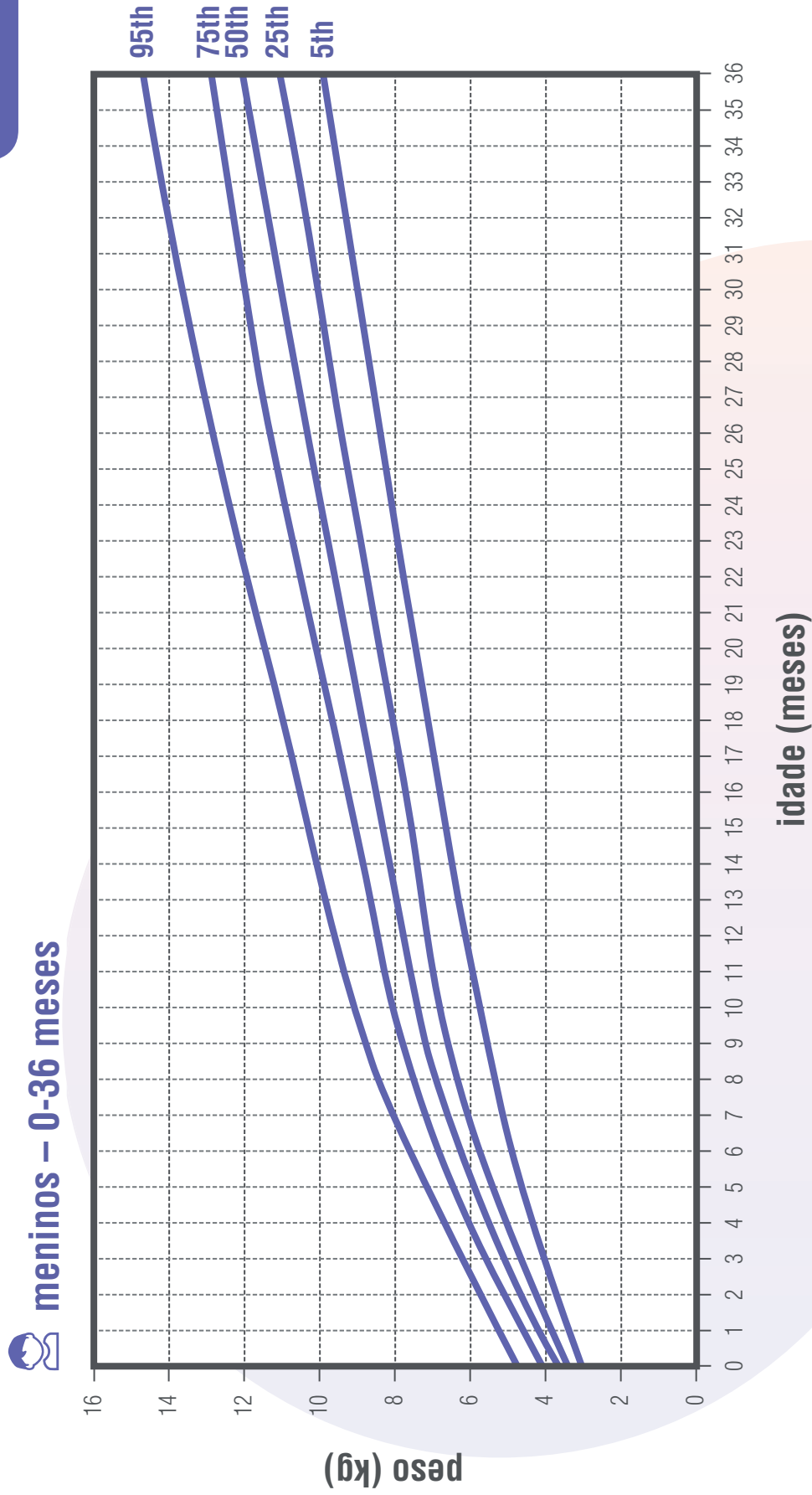


Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

Adaptada de Hoover-Fong, JE et al, 2021.¹

CURVAS DE CRESCIMENTO PARA PACIENTES COM ACONDRÓPLASIA

Peso por idade



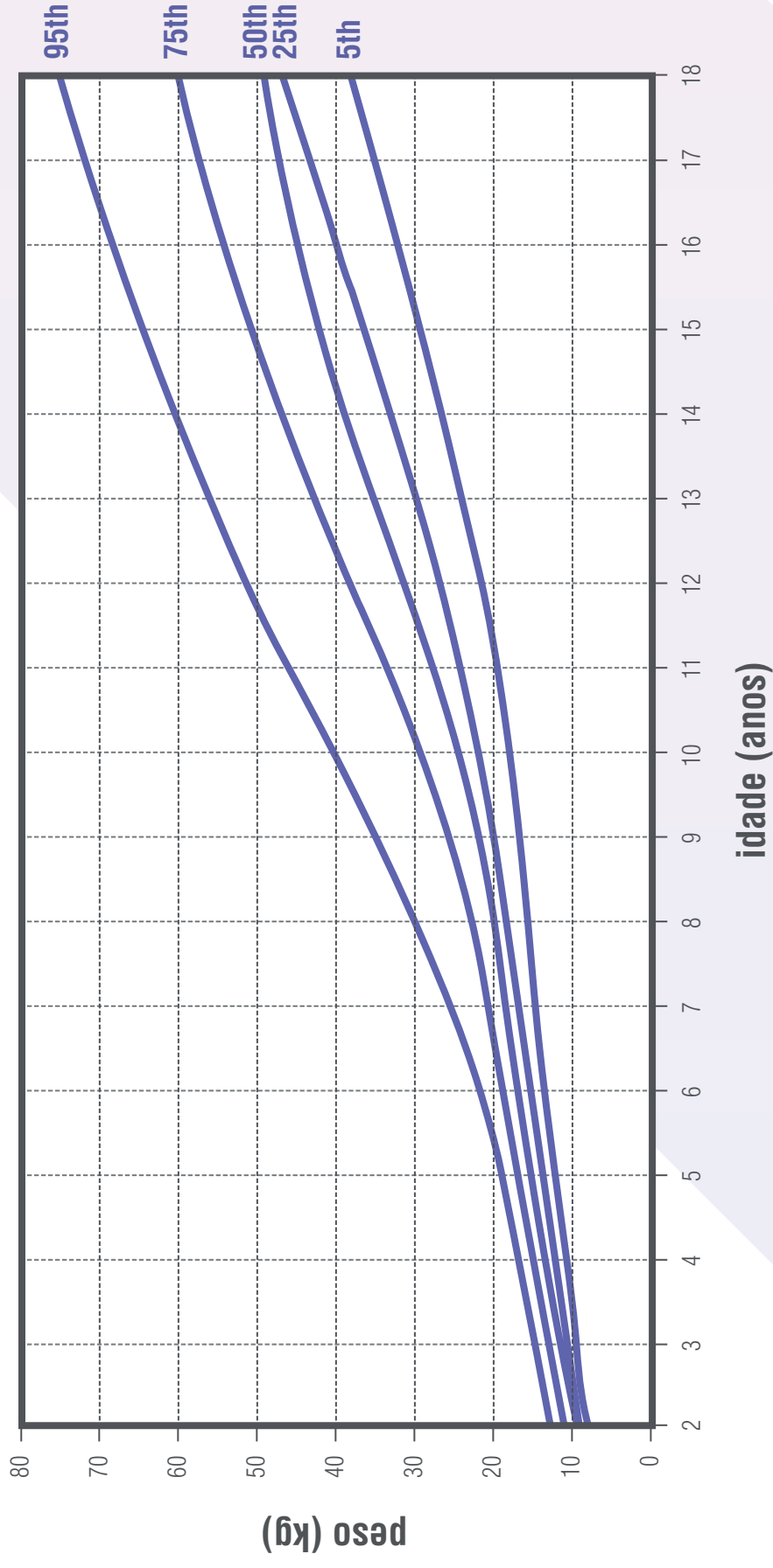
Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

Adaptada de Hoover-Fong JE et al, 2021.¹



meninos – 2-18 anos

Peso por idade

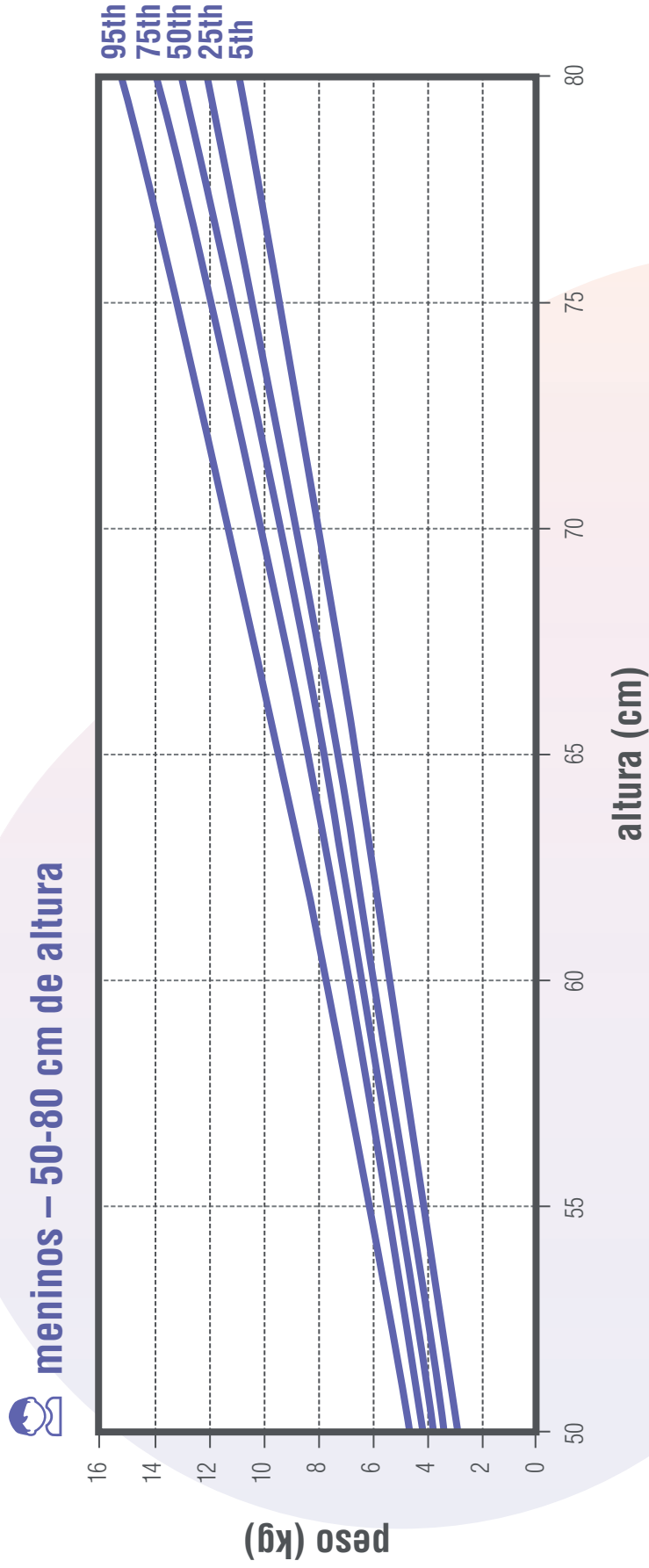


Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

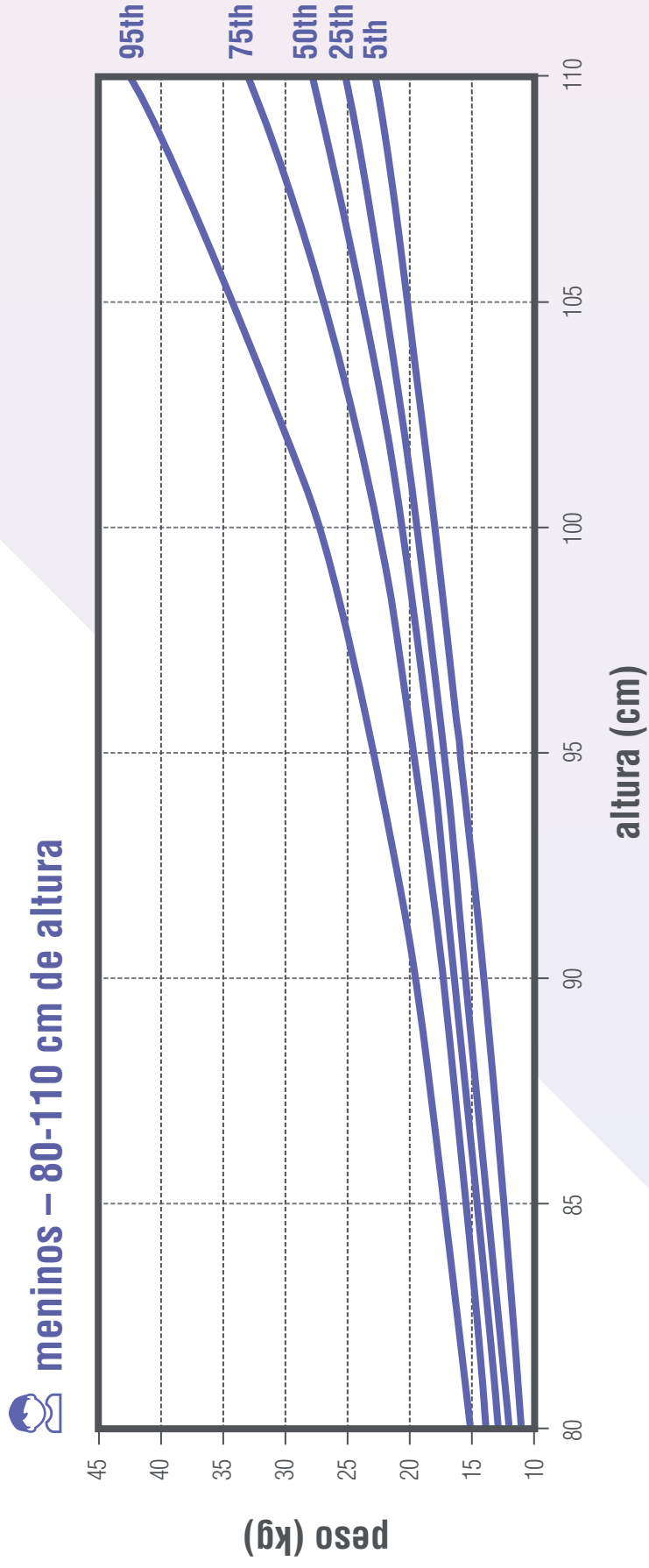
Adaptada de Hoover-Fong, JE et al, 2021.¹

CURVAS DE CRESCIMENTO PARA PACIENTES COM ACONDROPLASIA

Peso por altura



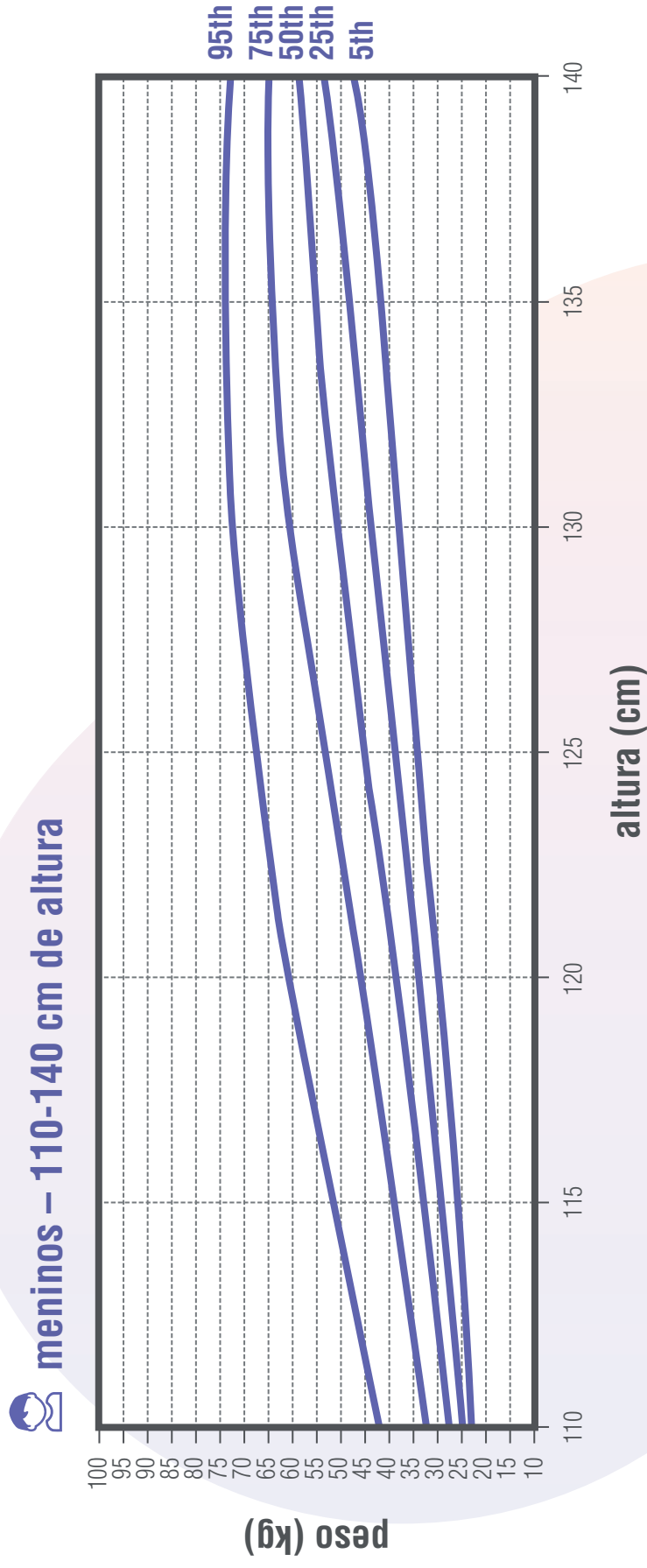
Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.



Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

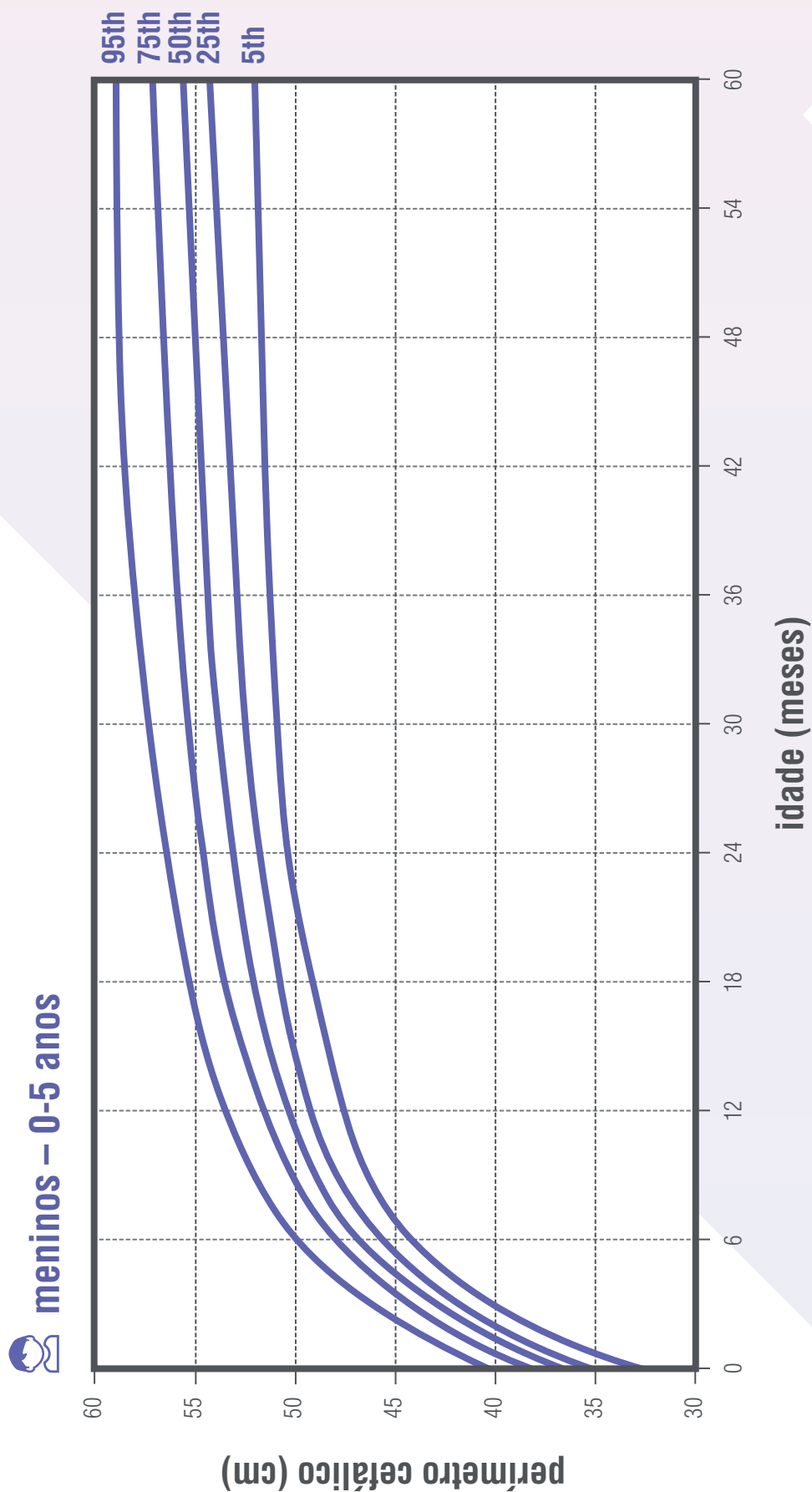
CURVAS DE CRESCIMENTO PARA PACIENTES COM ACONDROPLASIA

Peso por altura



Percentil 5th: escore $Z < -2$. Percentil 25th: escore $Z < -1$. Percentil 50th: escore $Z = 0$. Percentil 75th: escore $Z > +1$. Percentil 95th: escore $Z > +2$.

Adaptada de Hoover-Fong JE et al, 2021.¹



Percentil 5th: escore Z < -2. Percentil 25th: escore Z < -1. Percentil 50th: escore Z = 0. Percentil 75th: escore Z > +1. Percentil 95th: escore Z > +2.

Adaptada de Hoover-Fong JE et al. 2021.¹

Referência: 1. Hoover-Fong JE, Schulze KJ, Alade AY, et al. Growth in achondroplasia including stature, weight, weight-for-height and head circumference from CLARITY: achondroplasia natural history study – a multi-center retrospective cohort study of achondroplasia in the US. *Orphanet J Rare Dis.* 2021;16(1):522.

Este material é destinado exclusivamente aos profissionais da saúde. Direitos de uso de imagem cedidos a BioMarin Latam.

Informação Médica: medinfola@bmrn.com **Farmacovigilância:** farmacovigilancia@bmrn.com

a hora é aGOra

VOXZOGO é a primeira e única terapia aprovada para acondroplasia, administrada com uma injeção diária em crianças a partir de 2 anos de idade e cujas epífises não estão fechadas.¹

O crescimento adicional ósseo em pacientes tratados com VOXZOGO™ foi significativo em comparação com pacientes não tratados.¹⁻³



Velocidade de Crescimento Anual

+1,57 cm/ano

Melhora na VCA vs placebo em pacientes com 5 a 15 anos de idade em um estudo de Fase 3 em 1 ano (n=60; P<0,0001)^{1,4}

- Pacientes em tratamento com VOXZOGO™ demonstraram melhora de +0,28 no escore Z de altura em relação ao baseline em comparação com placebo (P<0,0001).¹
- A idade óssea progrediu normalmente, e a DXA não exibiu alterações significativas no conteúdo ou na densidade mineral óssea.²
- Análises de subgrupo demonstraram melhora consistente na VCA.¹



Crescimento Acumulado

+9,08 cm

Aumento acumulado em comparação com pacientes não tratados em um estudo de Fase 2 em 60 meses (n=10; P=0,0002)^{1,2}

- Análise post hoc comparativa e transversal de longo prazo da altura média em pé em 60 meses em pacientes tratados com VOXZOGO™ em comparação com controles de idade e sexo pareados não tratados e ajustados quanto a diferenças basais na altura.¹
- Não houve piora da desproporcionalidade ao longo de 60 meses.³

As IRSs mais comuns relatadas em ≥10% dos pacientes que receberam VOXZOGO™ foram reação, eritema, edema e urticária no local da injeção ¹



Referências: 1. Bula do produto. 2. Savarirayan R, Tofts L, Irving M, et al. Once-daily, subcutaneous vosoritide therapy in children with achondroplasia: a randomised, double-blind, phase 3, placebo-controlled, multicentre trial. Lancet. 2020;396(10252):684-692. doi:10.1016/S0140-6736(20)31541-5. 3. Hoover-Fong J, Irving M, Bacino C, et al. Vosoritide for children with achondroplasia: a 60-month update from an ongoing phase 2 clinical trial. Poster presented at: Annual Clinical Genetics Meeting of the American College of Medical Genetics and Genomics; April 13-16, 2021. VCA = Velocidade de crescimento anual; IRS = Reação no Local da Injeção

VOXZOGO™ (vosoritida). APRESENTAÇÕES: Voxzogo 0,4 mg: embalagem com 10 frascos-ampola de pó liofilizado para solução injetável contendo 0,4 mg de vosoritida, 10 seringas preenchidas com 0,5 mL de diluente, 10 agulhas para transferência do diluente e 10 seringas para aplicação. Voxzogo 0,56 mg: embalagem com 10 frascos-ampola de pó liofilizado para solução injetável contendo 0,56 mg de vosoritida, 10 seringas preenchidas com 0,7 mL de diluente, 10 agulhas para transferência do diluente e 10 seringas para aplicação. Voxzogo 1,2 mg: embalagem com 10 frascos-ampola de pó liofilizado para solução injetável contendo 1,2 mg de vosoritida, 10 seringas preenchidas com 0,6 mL de diluente, 10 agulhas para transferência do diluente e 10 seringas para aplicação. Cada frasco-ampola e seringa preenchida com diluente deve ser apenas para uso único. **USO SUBCUTÂNEO. USO ADULTO E PEDIÁTRICO ACIMA DE 2 ANOS. INDICAÇÕES:** VOXZOGO é indicado para o tratamento da acondroplasia em pacientes a partir de 2 anos de idade e cujas epífises não estão fechadas. O diagnóstico de acondroplasia deve ser confirmado por teste genético apropriado. **CONTRAINDICAÇÕES:** hipersensibilidade ao princípio ativo ou qualquer excipiente da formulação. **ADVERTÊNCIAS E PRECAUÇÕES:** risco de redução da pressão arterial e sintomas associados. Hidratar os pacientes por via oral no momento da injeção. **Efeitos sobre a capacidade de dirigir e usar máquinas:** aconselhar o paciente a não dirigir, andar de bicicleta ou usar máquinas por pelo menos 60 minutos após a injeção. **Gravidez (Categoria B) e Lactação:** não há dados ou os dados existentes são limitados em gestantes. Evitar Voxzogo durante a gravidez. Não utilizar durante a amamentação. **INTERAÇÕES MEDICAMENTOSAS:** por ser proteína humana recombinante, interações medicamentosas mediadas pelo citocromo P450 ou por transportadores de fármacos em humanos são improváveis. **POSOLÓGIA E MODO DE USAR:** Iniciar o tratamento em crianças o mais cedo possível. O volume de vosoritida a ser administrado na dose recomendada é baseado no peso do paciente e na concentração de vosoritida. Dose usual: 15 mcg/kg de peso corporal. Para informações detalhadas sobre a posologia, é recomendável consultar a bula completa. **Duração do tratamento:** tratamento deve ser interrompido após confirmação de que não existe potencial de crescimento adicional, indicado por velocidade de crescimento <1,5 cm/ano e fechamento das epífises. **Dose esquelética:** se uma dose de Voxzogo for esquecida, poderá ser administrada em até 12 horas. Acima de 12 horas, a dose esquecida não deve ser administrada e os pacientes/cuidadores devem ser orientados a continuarem com a próxima dose programada no dia seguinte. **Monitoramento de crescimento:** pacientes devem ser monitorados e avaliados regularmente a cada 3-6 meses para verificar o peso corporal, o crescimento e o desenvolvimento físico. A dose deve ser ajustada de acordo com o peso corporal do paciente. **População pediátrica:** segurança e eficácia em crianças com menos de 2 anos de idade ainda não foram estabelecidas. **Pacientes com comprometimento renal ou hepático:** segurança e eficácia de vosoritida não foram avaliadas em pacientes com comprometimento renal ou hepático. **Instruções de uso:** apenas para administração subcutânea. Administrar em até 3 horas após a reconstituição. **Antes da administração:** treinar cuidadores sobre a preparação e injeção subcutânea deste medicamento; treinar cuidadores e pacientes para reconhecer sinais e sintomas de diminuição da pressão arterial e informá-los sobre o que fazer em caso de diminuição sintomática da pressão arterial. Instruir pacientes e cuidadores a alternar os locais das injeções. **Locais de injeção recomendados:** parte anterior média das coxas, parte inferior do abdômen (exceto 5 cm diretamente ao redor do umbigo), parte superior das nádegas, parte de trás dos braços. Não utilizar a mesma área de injeção em dois dias consecutivos. Não injetar em locais que estejam vermelhos, inchados ou sensíveis. Pacientes devem estar bem hidratados no momento da injeção. Recomendado que os pacientes comam um lanche leve e bebam um copo de líquido cerca de 30 minutos antes da injeção, isso serve para reduzir sinais e sintomas de possíveis diminuições da pressão arterial que possam ocorrer. Se possível, este medicamento deve ser injetado aproximadamente à mesma hora todos os dias. **Populações especiais:** não foram observadas diferenças na farmacocinética de vosoritida com base em idade, sexo, raça ou etnia. **População pediátrica:** o perfil de segurança em crianças de 2 a <5 anos é similar ao observado em crianças mais velhas. Segurança e eficácia não foram estabelecidas em crianças abaixo de 2 anos de idade. **Comprometimento renal ou hepático:** com base no mecanismo de eliminação, não é esperado que o comprometimento renal ou hepático altere a farmacocinética de vosoritida. **REAÇÕES ADVERSAS: Mais comuns:** reações no local da injeção, vômitos, diminuição da pressão arterial, elevação da fosfatase alcalina. **Comuns:** síncope, pré-síncope, tontura, náusea, fadiga. **Imunogenicidade:** anticorpos antifármaco (AAF) foram detectados em pacientes tratados com vosoritida, porém com resultados negativos para anticorpos neutralizantes antivósorítida. Não houve correlação entre reações adversas de hipersensibilidade ou no local da injeção e positividade para AAF. Não houve associação entre positividade de AAF e alteração na velocidade de crescimento anual. **ARMazenamento:** armazenar sob refrigeração (2°C a 8°C). Não congelar. Proteger da luz. **Voxzogo** pode ser armazenado em temperatura ambiente (15°C a 30°C) por período único de até 90 dias. Não retornar **Voxzogo** ao refrigerador após armazenamento em temperatura ambiente. Estabilidade química e física após reconstituição da solução: 3 horas em temperatura ambiente. **Atenção: este medicamento é novo e, embora as pesquisas tenham indicado eficácia e segurança aceitáveis, mesmo que indicado e utilizado corretamente, podem ocorrer eventos adversos imprevisíveis ou desconhecidos. Nesse caso, notifique os eventos adversos através do Vigiméd, disponível no site da ANVISA. Em caso de intoxicação ligue para 0800 722 6001, se você precisar de mais orientações. VENDA SOB PRESCRIÇÃO MÉDICA. SAC: 0800-722-0350. MS: 1.7333.0005. Bula aprovada pela ANVISA em 01/02/2023.**

CONTRAINDICAÇÕES: hipersensibilidade ao princípio ativo ou qualquer excipiente da formulação. **INTERAÇÕES MEDICAMENTOSAS:** por ser proteína humana recombinante, interações medicamentosas mediadas pelo citocromo P450 ou por transportadores de fármacos em humanos são improváveis.

Este material é destinado exclusivamente aos profissionais da saúde. Direitos de uso de imagem cedidos a BioMarin Latam. Informações médicas: medinfola@bmrn.com | Farmacovigilância: farmacovigilancia@bmrn.com. LA-VOX-00061 - Junho/2023