



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5752/2022  
EMA/H/C/005367

## Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (*lonapegsomatropinum*)

Přehled pro přípravek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma a k čemu se používá?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma je léčivý přípravek, který se používá ke zlepšení růstu u dětí a dospívajících, u nichž se nevytváří dostatečné množství růstového hormonu (deficit růstového hormonu). Tento přípravek je určen pro děti a dospívající ve věku od 3 do 18 let.

Deficit růstového hormonu je vzácné onemocnění a přípravek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma byl označen dne 17. října 2019 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213).

Přípravek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma obsahuje léčivou látku lonapegsomatropin.

### Jak se přípravek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma používá?

Výdej přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat kvalifikovaný lékař, který má zkušenosti s diagnostikou a léčbou deficitu růstového hormonu u dětí.

Přípravek je k dispozici ve formě injekce v různých silách a podává se jednou týdně pod kůži. Zahajovací dávka závisí na tělesné hmotnosti a následně ji lékař individuálně upraví na základě odpovědi na léčbu. Po patřičném zaškolení mohou pacienti nebo osoby, které je ošetřují, přípravek injekčně aplikovat sami.

Více informací o používání přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

### Jak přípravek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma působí?

Růstový hormon je vylučován hypofýzou (žlázou, která se nachází na spodní straně mozku). Tento hormon je důležitý v dětství a v období dospívání pro růst a rovněž ovlivňuje to, jak tělo nakládá s bílkovinami, tuky a cukry. Léčivá látka v přípravku, lonapegsomatropin, je verze lidského růstového

---

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000 An agency of the European Union



hormonu (somatotropinu), která byla navázána na „nosič“, který ji chrání před příliš rychlým vyloučením z těla. Injekčně podaný léčivý přípravek pomalu uvolňuje růstový hormon do těla, díky čemuž se injekce nemusí podávat každý den.

## **Jaké přínosy přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma byly prokázány v průběhu studií?**

V hlavní studii, do které bylo zařazeno 161 pacientů ve věku od 3 do 12 let s dosud neléčeným deficitem růstového hormonu, bylo prokázáno, že přípravek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma podávaný jednou týdně v ekvivalentních dávkách je stejně účinný jako každodenní injekce somatotropinu. Studie se zaměřila na průměrnou rychlost růstu za rok, která činila 11,2 cm za rok ve skupině, které byl podáván lonapegsomatropin, a 10,3 cm za rok ve skupině, které byl podáván somatotropin každý den (průměrná rychlost růstu v obou skupinách před léčbou byla 3,9 cm za rok). Společnost rovněž předložila výsledky podpůrných studií zahrnujících pacienty, kteří již v minulosti podstoupili léčbu růstovým hormonem.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (které mohou postihnout až přibližně 1 osobu z 10) jsou bolest hlavy, bolest kloubů, sekundární hypotyreóza (typ snížené funkce štítné žlázy) a reakce v místě injekce, jako je zarudnutí, bolest, svědění nebo otok.

Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma je uveden v příbalové informaci.

Léčivé přípravky obsahující růstový hormon, jako je přípravek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, se nesmí používat, jestliže pacient trpí aktivním nádorovým onemocněním nebo akutním život ohrožujícím onemocněním. Tento léčivý přípravek se nesmí používat ani k podpoře růstu u dětí s uzavřenými epifýzami (kdy dlouhé kosti dokončily růst). Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma registrován v EU?**

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU. Účinnost léčivého přípravku byla prokázána jak u pacientů již v minulosti léčených růstovým hormonem, tak u nově diagnostikovaných pacientů, kteří dosud léčení nebyli, přičemž většina pacientů upřednostňovala podávání injekcí jednou týdně. Krátkodobá bezpečnost podle všeho odpovídá bezpečnosti ostatních přípravků obsahujících růstový hormon. Po uvedení přípravku na trh bude pečlivě sledováno jakékoli možné dlouhodobé riziko spojené s nosičem léčivé látky, ačkoli takové riziko se zdá být nepravděpodobné.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?**

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

### **Další informace o přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma**

Další informace o přípravku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma).