



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5753/2022  
EMA/H/C/005367

## Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (*lonapegsomatropin*)

En oversigt over Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, og hvad anvendes det til?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma er et lægemiddel, der anvendes til at forbedre væksten hos børn og unge, som ikke producerer tilstrækkeligt væksthormon (væksthormonmangel). Lægemidlet er beregnet til brug hos børn og unge i alderen 3-18 år.

Væksthormonmangel er sjælden, og Lonapegsomatropin Ascendis Pharma blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 17. oktober 2019. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213).

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma indeholder det aktive stof lonapegsomatropin.

### Hvordan anvendes Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma fås kun på recept, og behandlingen bør indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med diagnosticering og behandling af væksthormonmangel hos børn.

Lægemidlet fås som en injektion i forskellige styrker, der gives under huden én gang om ugen. Startdosen afhænger af legemsvægten og justeres derefter individuelt af lægen alt efter responsen. Patienter eller deres omsorgsgivere kan selv injicere dosis efter passende oplæring.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

### Hvordan virker Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Væksthormon udskilles af hypofysen (en kirtel, der ligger nederst i hjernen). Væksthormon er vigtigt for væksten hos børn og unge og har desuden betydning for kroppens håndtering af proteiner, fedtstoffer og kulhydrater. Det aktive stof i lægemidlet, lonapegsomatropin, er en version af det menneskelige væksthormon (somatropin), som er blevet bundet til et "bærestof", der beskytter det

---

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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



mod at blive fjernet fra kroppen for hurtigt. Lægemidlet frigiver langsomt væksthormon til kroppen efter injektionen, hvilket betyder, at injektionerne ikke behøver gives hver dag.

## **Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?**

I et hovedstudie med 161 patienter i alderen 3-12 år med tidligere ubehandlet væksthormonmangel har Lonapegsomatropin Ascendis Pharma givet en gang om ugen i tilsvarende doser vist sig at være lige så effektivt som daglige injektioner med somatropin. Studiet målte den gennemsnitlige væksthastighed over et år, som var 11,2 cm om året i den gruppe, der fik lonapegsomatropin, og 10,3 cm om året i den gruppe, der fik daglig somatropin (den gennemsnitlige væksthastighed i begge grupper inden behandlingen var 3,9 cm om året). Virksomheden fremlagde også resultaterne af understøttende studier med patienter, der tidligere var blevet behandlet med væksthormon.

## **Hvilke risici er der forbundet med Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?**

De hyppigste bivirkninger ved Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er hovedpine, ledsmerter, sekundær hypothyreose (en type lav skjoldbruskkirtelfunktion) og reaktioner på indstiksstedet såsom rødme, smerte, kløe eller hævelse.

Den fuldstændige liste over bivirkninger ved Lonapegsomatropin Ascendis Pharma fremgår af indlægssedlen.

Væksthormonlægemidler som Lonapegsomatropin Ascendis Pharma må ikke anvendes, hvis patienten har en aktiv tumor eller en akut livstruende sygdom. Lægemidlet må heller ikke anvendes til at fremme væksten hos børn med lukkede epifyser (når de store knogler ikke vokser mere). Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

## **Hvorfor er Lonapegsomatropin Ascendis Pharma godkendt i EU?**

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Lonapegsomatropin Ascendis Pharma opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU. Lægemidlet blev påvist at være effektivt både hos patienter, der tidligere var blevet behandlet med væksthormon, og hos nydiagnosticerede patienter, der endnu ikke var blevet behandlet. Hos de fleste patienter blev de ugentlige injektioner foretrukket. Den kortsigtede sikkerhed synes at være på linje med andre væksthormonprodukter. Selv om en eventuel risiko på længere sigt fra den bærende del af det aktive stof forekommer usandsynlig, vil denne risiko blive nøje overvåget efter markedsføringen.

## **Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?**

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Lonapegsomatropin Ascendis Pharma.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Lonapegsomatropin Ascendis Pharma løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Lonapegsomatropin Ascendis Pharma vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## **Andre oplysninger om Lonapegsomatropin Ascendis Pharma**

Yderligere information om Lonapegsomatropin Ascendis Pharma findes på agenturets websted under:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma)