



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5755/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (λοναπεγκσοματροπίνη)

Ανασκόπηση του Lonapegsomatropin Ascendis Pharma και αιτιολογικό
έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για την προαγωγή της ανάπτυξης σε παιδιά και εφήβους που δεν παράγουν επαρκή αυξητική ορμόνη (ανεπάρκεια αυξητικής ορμόνης ή GHD). Το φάρμακο προορίζεται για παιδιά και εφήβους ηλικίας από 3 έως 18 ετών.

Η GHD είναι «σπάνια» νόσος και το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 17 Οκτωβρίου 2019. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma περιέχει τη δραστική ουσία λοναπεγκσοματροπίνη.

Πώς χρησιμοποιείται το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma;

Το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η παρακολούθηση της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιούνται από γιατρό με ειδικευση και πείρα στη διάγνωση και τη θεραπεία της GHD σε παιδιά.

Το φάρμακο διατίθεται σε μορφή ένεσης διαφόρων περιεκτικοτήτων, η οποία χορηγείται υποδορίως μία φορά την εβδομάδα. Η δόση έναρξης εξαρτάται από το σωματικό βάρος και στη συνέχεια προσαρμόζεται από τον γιατρό ανάλογα με την ανταπόκριση του κάθε ασθενούς. Μετά από κατάλληλη εκπαίδευση, οι ασθενείς ή οι φροντιστές τους μπορούν να κάνουν μόνοι τους την ένεση.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma;

Η αυξητική ορμόνη εκκρίνεται από την υπόφυση (έναν αδένα που βρίσκεται στη βάση του εγκεφάλου). Η ορμόνη αυτή είναι σημαντική για την ανάπτυξη κατά την παιδική και εφηβική ηλικία και επηρεάζει

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

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



επίσης τον τρόπο με τον οποίο ο οργανισμός κάνει χρήση των πρωτεϊνών, των λιπαρών ουσιών και των υδατανθράκων. Η δραστική ουσία του φαρμάκου, η λοναπεγκσοματροπίνη, είναι μια έκδοση ανθρώπινης αυξητικής ορμόνης (της σωματοτροπίνης) η οποία έχει προσδεθεί σε έναν «φορέα» που την προστατεύει από την πολύ ταχεία απομάκρυνσή της από τον οργανισμό. Το φάρμακο απελευθερώνει αργά την αυξητική ορμόνη στον οργανισμό μετά την ένεση, γεγονός που σημαίνει ότι οι ενέσεις δεν χρειάζεται να χορηγούνται καθημερινά.

Ποια είναι τα οφέλη του Lonapegsomatropin Ascendis Pharma σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma χορηγούμενο μία φορά την εβδομάδα σε ισοδύναμες δόσεις έχει αποδειχθεί ότι είναι εξίσου αποτελεσματικό με τις ημερήσιες ενέσεις σωματοτροπίνης σε μια κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 161 ασθενείς ηλικίας 3 έως 12 ετών οι οποίοι δεν είχαν λάβει προηγούμενη θεραπεία για την GHD. Η μελέτη μέτρησε τον μέσο ρυθμό ανάπτυξης (ταχύτητα αύξησης ύψους) σε διάστημα ενός έτους, ο οποίος ήταν 11,2 cm ετησίως στην ομάδα που έλαβε λοναπεγκσοματροπίνη και 10,3 cm ετησίως στην ομάδα που έλαβε ημερησίως σωματοτροπίνη (μέσος ρυθμός ανάπτυξης και στις δύο ομάδες πριν από τη θεραπεία ήταν 3,9 cm ετησίως). Η εταιρεία παρουσίασε επίσης τα αποτελέσματα υποστηρικτικών μελετών στις οποίες μετείχαν ασθενείς που είχαν υποβληθεί κατά το παρελθόν σε θεραπεία με αυξητική ορμόνη.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στα 10 άτομα περίπου) είναι πονοκέφαλος, πόνος στις αρθρώσεις, δευτεροπαθής υποθυρεοειδισμός (τύπος χαμηλής λειτουργίας του θυρεοειδούς) και αντιδράσεις στο σημείο της ένεσης, όπως ερυθρότητα, πόνος, κνησμός ή οίδημα.

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Δεν πρέπει να χορηγούνται φάρμακα αυξητικής ορμόνης όπως το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma σε ασθενείς με ενεργό όγκο ή οξεία απειλητική για τη ζωή νόσο. Επίσης, το φάρμακο δεν πρέπει να χρησιμοποιείται για την προαγωγή της ανάπτυξης σε παιδιά με κλειστές επιφύσεις (δηλαδή όταν έχει ολοκληρωθεί η ανάπτυξη των επιμήκων οστών). Για τον πλήρη κατάλογο των περιορισμών, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma στην ΕΕ;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Lonapegsomatropin Ascendis Pharma υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ. Το φάρμακο αποδείχθηκε αποτελεσματικό τόσο σε ασθενείς που είχαν υποβληθεί σε προηγούμενη θεραπεία με αυξητική ορμόνη όσο και σε νεοδιαγνωσθέντες ασθενείς που δεν είχαν υποβληθεί ακόμη σε θεραπεία, ενώ οι περισσότεροι ασθενείς προτίμησαν τις εβδομαδιαίες ενέσεις. Η βραχυχρόνια ασφάλεια φαίνεται να είναι ανάλογη με την ασφάλεια άλλων προϊόντων αυξητικής ορμόνης. Αν και οποιοσδήποτε πιο μακροχρόνιος κίνδυνος από το φέρον μέρος της δραστικής ουσίας φαίνεται απίθανος, αυτό θα παρακολουθείται στενά μετά την κυκλοφορία του προϊόντος στην αγορά.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Lonapegsomatropin Ascendis Pharma;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Lonapegsomatropin Ascendis Pharma.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Lonapegsomatropin Ascendis Pharma τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται με το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Περισσότερες πληροφορίες για το Lonapegsomatropin Ascendis Pharma διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.