



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5757/2022  
EMA/H/C/005367

## Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (*lonapegsomatropina*)

Información general sobre Lonapegsomatropin Ascendis Pharma y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Lonapegsomatropin Ascendis Pharma y para qué se utiliza?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma es un medicamento que se utiliza para mejorar el crecimiento en niños y adolescentes que no producen suficiente hormona del crecimiento (deficiencia de hormona del crecimiento o DHC). El medicamento está destinado a niños y adolescentes de entre 3 y 18 años de edad.

La DHC es una enfermedad «rara», y Lonapegsomatropin Ascendis Pharma fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 17 de octubre de 2019. Puede encontrar más información acerca de la designación como medicamento huérfano en: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213).

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma contiene el principio activo lonapegsomatropina.

### ¿Cómo se usa Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo y supervisarlo un médico cualificado con experiencia en el diagnóstico y el tratamiento de la DHC en niños.

El medicamento se presenta en forma de inyección de diversas dosis y se administra bajo la piel una vez a la semana. La dosis inicial depende del peso corporal y el médico la irá ajustando individualmente en función de la respuesta. Los pacientes o sus cuidadores pueden inyectar ellos mismos la dosis después de una formación adecuada.

Para mayor información sobre el uso de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

### ¿Cómo actúa Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

La hormona del crecimiento es liberada por la glándula pituitaria (una glándula situada en la base del cerebro). Es importante para el crecimiento durante la infancia y la adolescencia y también afecta a la

---

**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



manera en que el organismo metaboliza las proteínas, las grasas y los hidratos de carbono. El principio activo del medicamento, la lonapegsomatropina, es una versión de la hormona del crecimiento humano (somatotropina) que se ha unido a un «portador» que la protege de ser eliminada del organismo demasiado rápido. Después de la inyección, el medicamento libera lentamente la hormona del crecimiento al organismo, lo que significa que las inyecciones no tienen que administrarse todos los días.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Lonapegsomatropin Ascendis Pharma en los estudios realizados?**

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, administrado una vez a la semana en dosis equivalentes, ha demostrado ser tan eficaz como las inyecciones diarias de somatotropina en un estudio principal en el que participaron 161 pacientes de entre 3 y 12 años con DHC no tratada previamente. En el estudio se midió la tasa media de crecimiento (velocidad de estatura) a lo largo de un año, que fue de 11,2 cm al año en el grupo al que se administró lonapegsomatropina y de 10,3 cm al año en el grupo al que se administró somatotropina diaria (la tasa media de crecimiento en ambos grupos antes del tratamiento fue de 3,9 cm al año). La empresa presentó también los resultados de estudios de apoyo en los que participaron pacientes que habían recibido previamente tratamiento con hormona del crecimiento.

## **¿Cuáles son los riesgos asociados a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?**

Los efectos adversos más frecuentes de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (pueden afectar hasta 1 de cada 10 pacientes) son dolor de cabeza, dolor articular, hipotiroidismo secundario (un tipo de función tiroidea baja) y reacciones en el lugar de la inyección, como enrojecimiento, dolor, picor o hinchazón.

La lista completa de efectos adversos notificados de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma se puede consultar en el prospecto.

Los medicamentos que contienen hormona del crecimiento, como Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, no deben utilizarse si el paciente presenta un tumor activo o una enfermedad aguda potencialmente mortal. El medicamento tampoco debe utilizarse para promover el crecimiento en niños con epífisis cerradas (cuando los huesos largos han terminado de crecer). La lista completa de restricciones se puede consultar en el prospecto.

## **¿Por qué se ha autorizado Lonapegsomatropin Ascendis Pharma en la UE?**

La Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE. El medicamento demostró ser eficaz tanto en pacientes tratados previamente con hormona del crecimiento como en pacientes recién diagnosticados que todavía no habían sido tratados, y la mayoría de los pacientes prefirieron las inyecciones semanales. La seguridad a corto plazo parece estar en consonancia con otros productos de hormona del crecimiento; aunque parece improbable cualquier riesgo a largo plazo derivado de la parte portadora del principio activo, esto se vigilará estrechamente después de la comercialización.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?**

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

### **Otra información sobre Lonapegsomatropin Ascendis Pharma**

Puede encontrar información adicional sobre Lonapegsomatropin Ascendis Pharma en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma).