



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5764/2022  
EMA/H/C/005367

## Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (lonapegsomatropin)

A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma egy olyan gyógyszer, amelyet olyan gyermekek és serdülők növekedésének javítására alkalmaznak, akiknek a szervezete nem termel elegendő növekedési hormont (növekedési hormon hiány vagy GHD). A gyógyszert 3 és 18 év közötti gyermekeknek és serdülőknek szánják.

Mivel a GHD „ritkának” minősül, ezért a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma-t 2019. október 17-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213).

A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma hatóanyaga a lonapegsomatropin.

### **Hogyan kell alkalmazni a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma-t?**

A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma csak receptre kapható, és a kezelést a gyermekkori GHD diagnosztizálásában és kezelésében tapasztalt orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A gyógyszer különböző hatáserősségű injekciók formájában kapható, amelyeket hetente egyszer kell bőr alá beadni. A kezdő adag a testsúlytól függ, és azt az orvos a gyógyszerválasz alapján egyénileg módosítja. A betegek vagy gondozóik megfelelő betanítást követően maguk is beadhatják az adagot.

További információért a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

### **Hogyan fejti ki hatását a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?**

A növekedési hormont az agyalapi mirigy (az agy alapjánál található mirigy) termeli. Gyermek- és serdülőkorban a növekedés szempontjából fontos, illetve azt befolyásolja, ahogyan a szervezet a fehérjéket, zsírokat és szénhidrátokat kezeli. A gyógyszer hatóanyaga, a lonapegsomatropin, a humán

---

**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



növekedési hormon (szomatropin) egyik változata, amelyet egy olyan „hordozóanyaghoz” kapcsoltak, amely védi a szervezetből való túl gyorsan történő kiürüléstől. A gyógyszer az injekció beadását követően lassan bocsátja ki a növekedési hormont a szervezetbe, ami azt jelenti, hogy nem szükséges az injekciót minden nap beadni.

## **Milyen előnyei voltak a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma alkalmazásának a vizsgálatok során?**

Egy 161, korábban nem kezelt, 3 és 12 év közötti életkorú, előzőleg nem kezelt GHD-ben szenvedő beteg részvételével végzett fő vizsgálatban a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma hetente egyszer, egyenértékű adagokban alkalmazva ugyanolyan hatékonynak bizonyult, mint a napi szomatropin injekciók. A vizsgálatban az átlagos növekedési rátát (növekedési sebesség) mérték egy év alatt, amely a lonapegszatropinnal kezelt csoportban évi 11,2 cm, a napi szomatropinnal kezelt csoportban pedig évi 10,3 cm volt (az átlagos növekedési ütem a kezelés előtt mindkét csoportban évi 3,9 cm volt). A vállalat alátámasztó vizsgálatok eredményeit is benyújtotta, melyekbe a korábban növekedési hormonkezelésben részesült betegeket is bevonták.

## **Milyen kockázatokkal jár a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma alkalmazása?**

A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, ízületi fájdalom, másodlagos pajzsmirigy-alulműködés (hipotireózis) és az injekció beadásának helyén fellépő reakciók, például bőrpír, fájdalom, viszketés vagy duzzanat.

A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A növekedési hormont tartalmazó gyógyszerek, mint a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, nem alkalmazhatók, ha a beteg aktív daganatos betegségben vagy akut életveszélyes betegségben szenved. A gyógyszer nem alkalmazható a növekedés serkentésére lezárult epifízisű gyermekeknél (amikor a nagy csontok növekedése befejeződött). A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## **Miért engedélyezték a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma forgalomba hozatalát az EU-ban?**

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető. A gyógyszer hatékonynak bizonyult a korábban növekedési hormonnal kezelt betegeknél és az újonnan diagnosztizált, még nem kezelt betegeknél egyaránt, és a legtöbb beteg a heti injekciókat részesítette előnyben. Úgy tűnik, hogy a rövid távú biztonságosság összhangban van más növekedési hormon-termékekkel; bár a hatóanyag hordozó részéről a hosszabb távú kockázat valószínűtlennek tűnik, ezt a forgalomba hozatal után szorosan ellenőrizni fogják.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma-val kapcsolatos egyéb információ**

A Lonapegsomatropin Ascendis Pharma-ra vonatkozó további információ az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma).