



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5766/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (*lonapegsomatropina*)

Sintesi di Lonapegsomatropin Ascendis Pharma e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Lonapegsomatropin Ascendis Pharma e per cosa si usa?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma è un medicinale usato per migliorare la crescita dei bambini e degli adolescenti che non producono una quantità sufficiente di ormone somatotropo (deficit di ormone somatotropo o GHD). Il medicinale è destinato a bambini e adolescenti dai 3 ai 18 anni di età.

La GHD è rara e Lonapegsomatropin Ascendis Pharma è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 17 ottobre 2019. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma contiene il principio attivo lonapegsomatropina.

Come si usa Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato e monitorato da un medico qualificato ed esperto nella diagnosi e nel trattamento della GHD nei bambini.

Il medicinale è disponibile sotto forma di iniezione in diversi dosaggi, da somministrare per via sottocutanea una volta alla settimana. La dose iniziale dipende dal peso corporeo e viene poi adeguata individualmente dal medico in base alla risposta. I pazienti stessi o coloro che li assistono possono praticare l'iniezione della dose dopo aver ricevuto le opportune istruzioni.

Per maggiori informazioni sull'uso di Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

L'ormone somatotropo è secreto dall'ipofisi (una ghiandola situata alla base del cervello), è importante per la crescita nel corso dell'infanzia e dell'adolescenza e incide anche sulla modalità di utilizzo di proteine, grassi e carboidrati da parte dell'organismo. Il principio attivo contenuto nel medicinale,

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



Lonapegsomatropina, è una versione dell'ormone umano della crescita (somatropina) che è stata collegata a un "vettore" che lo protegge da un'eliminazione troppo rapida dall'organismo. Il medicinale rilascia lentamente l'ormone somatotropo nell'organismo dopo l'iniezione, il che significa che non è necessario somministrare le iniezioni ogni giorno.

Quali benefici di Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale su 161 pazienti di età compresa tra 3 e 12 anni affetti da GHD non trattata in precedenza ha dimostrato che Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, somministrato una volta alla settimana in dosi equivalenti, è efficace quanto le iniezioni giornaliere di somatropina. Lo studio ha misurato il tasso medio di crescita (velocità dell'altezza) nel corso di un anno, che è stato pari a 11,2 cm all'anno nel gruppo trattato con lonapegsomatropina e di 10,3 cm all'anno nei gruppi trattati con somatropina giornaliera (il tasso medio di crescita in entrambi i gruppi prima del trattamento era di 3,9 cm all'anno). La ditta ha inoltre presentato i risultati di studi di supporto che hanno coinvolto pazienti precedentemente sottoposti a trattamento con l'ormone somatotropo.

Quali sono i rischi associati a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Gli effetti indesiderati più comuni di Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (che possono riguardare fino a circa 1 persona su 10) sono cefalea, dolore articolare, ipotiroidismo secondario (un tipo di bassa funzione tiroidea) e reazioni nel sito di iniezione quali arrossamento, dolore, sensazione di prurito o tumefazione.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, vedere il foglio illustrativo.

I medicinali a base di ormone somatotropo come Lonapegsomatropin Ascendis Pharma non devono essere utilizzati se il paziente è affetto da un tumore attivo o da una malattia acuta potenzialmente letale. Inoltre, il medicinale non deve essere usato per favorire la crescita nei bambini con epifisi chiuse (quando è terminata la crescita delle grandi ossa). Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Lonapegsomatropin Ascendis è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE. Il medicinale si è dimostrato efficace sia nei pazienti precedentemente trattati con ormone somatotropo sia in quelli di nuova diagnosi che non erano ancora stati trattati e le iniezioni settimanali sono state preferite dalla maggior parte dei pazienti. La sicurezza a breve termine sembra essere in linea con altri prodotti a base di ormone somatotropo; anche se un eventuale rischio a più lungo termine da parte del vettore del principio attivo sembra improbabile; tale rischio sarà attentamente monitorato dopo l'immissione in commercio.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sono costantemente monitorati. I sospetti effetti indesiderati riportati con Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Ulteriori informazioni su Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.