



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5744/2022  
EMA/H/C/005367

## Lonapegsomatropine Ascendis Pharma (*lonapegsomatropine*)

Een overzicht van Lonapegsomatropine Ascendis Pharma en waarom het is geregistreerd in de EU

### **Wat is Lonapegsomatropine Ascendis Pharma en wanneer wordt het voorgeschreven?**

Lonapegsomatropine Ascendis Pharma is een geneesmiddel dat wordt gebruikt om de groei te verbeteren bij kinderen en adolescenten die onvoldoende groeihormoon (groeihormoondeficiëntie of GHD) produceren. Het geneesmiddel is bedoeld voor kinderen en adolescenten van 3 tot 18 jaar oud.

GHD is zeldzaam, en Lonapegsomatropine Ascendis Pharma werd op 17 oktober 2019 aangewezen als "weesgeneesmiddel" (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel kan hier worden gevonden:

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

Lonapegsomatropine Ascendis Pharma bevat de werkzame stof lonapegsomatropine.

### **Hoe wordt Lonapegsomatropine Ascendis Pharma gebruikt?**

Lonapegsomatropine Ascendis Pharma is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart en gecontroleerd door een arts die gekwalificeerd is en ervaring heeft met de diagnose en behandeling van GHD bij kinderen.

Het geneesmiddel is verkrijgbaar in de vorm van een injectie van verschillende sterkten, die eenmaal per week onder de huid moet worden toegediend. De aanvangsdosis is afhankelijk van het lichaamsgewicht en wordt daarna individueel door de arts aangepast op basis van de respons. Patiënten of hun verzorgers kunnen de dosis na de juiste opleiding zelf injecteren.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Lonapegsomatropine Ascendis Pharma.

### **Hoe werkt Lonapegsomatropine Ascendis Pharma?**

Groeihormoon wordt afgegeven door de hypofyse (een klier aan de basis van de hersenen). Het is belangrijk voor de groei tijdens de kinderjaren en de adolescentie, en beïnvloedt ook de manier waarop

---

**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



het lichaam omgaat met eiwitten, vet en koolhydraten. De werkzame stof in het geneesmiddel, lonapegsomatropine, is een versie van het menselijk groeihormoon (somatropine) die is gehecht aan een zogenaamde "drager" die het te snel beschermt tegen verwijdering uit het lichaam. Het geneesmiddel geeft na injectie langzaam groeihormoon af in het lichaam, wat betekent dat injecties niet elke dag hoeven te worden toegediend.

## **Welke voordelen bleek Lonapegsomatropine Ascendis Pharma tijdens de studies te hebben?**

In een hoofdstudie onder 161 patiënten van 3 tot 12 jaar met niet eerder behandelde GHD bleek Lonapegsomatropine Ascendis Pharma, eenmaal per week in equivalente doses toegediend, even werkzaam als dagelijkse injecties met somatropine. In het onderzoek werd de gemiddelde groeisnelheid (groeisnelheid) over een jaar gemeten, die 11,2 cm per jaar bedroeg in de groep die lonapegsomatropine kreeg en 10,3 cm per jaar in de groep die dagelijks somatropine kreeg (de gemiddelde groeisnelheid was in beide groepen vóór de behandeling 3,9 cm per jaar). De firma presenteerde ook de resultaten van ondersteunende studies onder patiënten die eerder een behandeling met groeihormoon hadden ondergaan.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Lonapegsomatropine Ascendis Pharma in?**

De meest voorkomende bijwerkingen van Lonapegsomatropine Ascendis Pharma (die bij maximaal ongeveer 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn hoofdpijn, gewrichtspijn, secundaire hypothyreoïdie (een soort lage schildklierfunctie) en reacties op de injectieplaats zoals roodheid, pijn, jeuk of zwelling.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van Lonapegsomatropine Ascendis Pharma.

Groeihormoongeneesmiddelen zoals Lonapegsomatropine Ascendis Pharma mogen niet worden gebruikt als de patiënt een actieve tumor of een acute levensbedreigende ziekte heeft. Het geneesmiddel mag ook niet worden gebruikt ter bevordering van de groei bij kinderen met gesloten groeischijven (wanneer de grote botten met groeien zijn gestopt). Zie de bijsluiter voor de volledige beschrijving van de beperkende voorwaarden.

## **Waarom is Lonapegsomatropine Ascendis Pharma geregistreerd in de EU?**

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Lonapegsomatropine Ascendis Pharma groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU. Het geneesmiddel bleek zowel bij eerder met groeihormoon behandelde patiënten als bij pas gediagnosticeerde patiënten die nog niet waren behandeld werkzaam te zijn, en de meeste patiënten gaven de voorkeur aan wekelijkse injecties. De veiligheid op korte termijn lijkt in overeenstemming te zijn met andere groeihormoonproducten; hoewel een risico op langere termijn door het dragerdeel van de werkzame stof onwaarschijnlijk lijkt, zal dit nauwlettend worden gecontroleerd na het in de handel brengen ervan.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Lonapegsomatropine Ascendis Pharma te waarborgen?**

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Lonapegsomatropine Ascendis Pharma, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Lonapegsomatropine Ascendis Pharma continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Lonapegsomatropine Ascendis Pharma worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

### **Overige informatie over Lonapegsomatropine Ascendis Pharma**

Meer informatie over Lonapegsomatropine Ascendis Pharma is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma).