



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5745/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (*lonapegsomatropina*)

Przegląd wiedzy na temat leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma i w jakim celu się go stosuje

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma jest lekiem stosowanym w celu poprawy wzrostu u dzieci i młodzieży, których organizmy nie wytwarzają wystarczającej ilości hormonu wzrostu (niedobór hormonu wzrostu lub GHD). Lek przeznaczony jest dla dzieci i młodzieży w wieku od 3 do 18 lat.

Ze względu na to, że GHD uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 17 października 2019 r. lek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Substancją czynną zawartą w leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma jest lonapegsomatropina.

Jak stosować lek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz z kwalifikacjami i doświadczeniem w diagnozowaniu i leczeniu GHD u dzieci.

Lek jest dostępny w postaci wstrzyknięć o różnej mocy, podawanych podskórnie raz w tygodniu. Dawka początkowa zależy od masy ciała, a następnie jest dostosowywana indywidualnie przez lekarza na podstawie odpowiedzi na leczenie. Po odpowiednim przeszkoleniu pacjenci lub ich opiekunowie mogą samodzielnie wstrzykiwać dawkę.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Hormon wzrostu jest wydzielany przez przysadkę (gruczoł znajdujący się przy podstawie mózgu). Jest on istotny dla wzrostu w okresie dzieciństwa i dorastania, jak również ma wpływ na sposób wykorzystywania białek, tłuszczów i węglowodanów przez organizm. Substancją czynną leku,

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, jest wersją ludzkiego hormonu wzrostu (somatropiny), która jest dołączona do nośnika chroniącego ją przed zbyt szybkim wydalaniem z organizmu. Po wstrzyknięciu lek powoli uwalnia hormon wzrostu do organizmu, co oznacza, że wstrzyknięcie nie trzeba wykonywać codziennie.

Korzyści ze stosowania leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 161 pacjentów w wieku od 3 do 12 lat z wcześniej nieleczonym GHD wykazano, że lek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma podawany raz w tygodniu w równoważnych dawkach jest równie skuteczny jak codzienne wstrzyknięcia somatropiny. W badaniu oceniano średnie tempo wzrostu (szybkość wzrostu) w ciągu roku, które wynosiło 11,2 cm na rok w grupie, której podawano lonapegsomatropinę, i 10,3 cm na rok w grupie, której podawano codziennie somatropinę (średnia szybkość wzrostu w obu grupach przed leczeniem wynosiła 3,9 cm na rok). Firma przedstawiła również wyniki badań pomocniczych z udziałem pacjentów, którzy wcześniej byli leczeni hormonem wzrostu.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (mogące wystąpić u około 1 na 10 pacjentów) to: ból głowy, ból stawów, niedoczynność tarczycy i reakcje w miejscu wstrzyknięcia, takie jak zaczerwienienie, ból, świąd lub opuchlizna.

Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leków zawierających hormon wzrostu, takich jak Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, nie wolno stosować w przypadku, gdy u pacjenta występuje aktywny guz lub ostra choroba zagrażająca życiu. Leku nie wolno również stosować do wspomaganie wzrostu u dzieci z zamkniętymi nasadami kości (u których zakończył się wzrost kości długich). Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma w UE

Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma przewyższają ryzyko, i może on być dopuszczony do obrotu w UE. Wykazano, że lek jest skuteczny zarówno u pacjentów wcześniej leczonych hormonem wzrostu, jak i u pacjentów z nowo rozpoznaną chorobą, którzy nie byli jeszcze leczeni, a większość pacjentów preferowała podawanie wstrzyknięć raz w tygodniu. Wydaje się, że bezpieczeństwo stosowania w krótkim okresie jest zgodne z bezpieczeństwem innych produktów zawierających hormon wzrostu; chociaż jakiegokolwiek długoterminowe ryzyko związane z substancją czynną będącą nośnikiem wydaje się mało prawdopodobne, będzie to ściśle monitorowane po wprowadzeniu leku do obrotu.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Dalsze informacje na temat leku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.