



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5747/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropina Ascendis Pharma (lonapegsomatropină)

Prezentare generală a Lonapegsomatropinei Ascendis Pharma și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Lonapegsomatropina Ascendis Pharma și pentru ce se utilizează?

Lonapegsomatropina Ascendis Pharma este un medicament care se utilizează pentru a îmbunătăți creșterea la copiii și adolescenții care nu produc suficient hormon de creștere (deficit de hormon de creștere sau DHC). Medicamentul este destinat utilizării la copii și adolescenți cu vârste între 3 și 18 ani.

DHC este rară, iar Lonapegsomatropina Ascendis Pharma a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 17 octombrie 2019. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Lonapegsomatropina Ascendis Pharma conține substanța activă lonapegsomatropină.

Cum se utilizează Lonapegsomatropina Ascendis Pharma?

Lonapegsomatropina Ascendis Pharma se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și monitorizat de un medic specializat și cu experiență în diagnosticarea și tratarea DHC-ului la copii și adolescenți.

Medicamentul este disponibil sub formă de injecție în diferite concentrații, care se administrează subcutanat o dată pe săptămână. Doza inițială depinde de greutatea corporală și este apoi ajustată individual de medic pe baza răspunsului. Pacienții sau îngrijitorii lor își pot administra singuri injecția, după o instruire adecvată.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Lonapegsomatropinei Ascendis Pharma, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Lonapegsomatropina Ascendis Pharma?

Hormonul de creștere este eliberat de hipofiză (o glandă aflată la baza creierului). Acesta este important pentru creștere în timpul copilăriei și adolescenței și influențează, de asemenea, modul în

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



care organismul prelucrează proteinele, grăsimile și carbohidrații. Substanța activă din medicament, lonapegsomatropina, este o versiune a hormonului uman de creștere (somatropină) care s-a legat de un „vector” care îl protejează împotriva eliminării prea rapide din organism. Medicamentul eliberează lent hormonul de creștere în organism după injectare, ceea ce înseamnă că injecțiile nu trebuie administrate în fiecare zi.

Ce beneficii a prezentat Lonapegsomatropina Ascendis Pharma pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal care a implicat 161 de pacienți cu vârste între 3 și 12 ani cu DHC netratat anterior, s-a arătat că Lonapegsomatropina Ascendis Pharma administrată o dată pe săptămână în doze echivalente este la fel de eficace ca injecțiile zilnice cu somatropină. Studiul a măsurat rata medie de creștere (viteza de creștere în înălțime) pe parcursul unui an, care a fost de 11,2 cm pe an la grupul cărui i s-a administrat lonapegsomatropină și de 10,3 cm pe an la grupul cărui i s-a administrat somatropină zilnică (rata medie de creștere la ambele grupuri înainte de tratament a fost de 3,9 cm pe an). Compania a prezentat, de asemenea, rezultatele unor studii de susținere, incluzând pacienți care urmaseră în prealabil un tratament cu hormon de creștere.

Care sunt riscurile asociate cu Lonapegsomatropina Ascendis Pharma?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Lonapegsomatropina Ascendis Pharma (care pot afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt dureri de cap, dureri articulare, hipotiroidism secundar (un tip de funcție tiroidiană scăzută) și reacții la locul de injectare, de exemplu roșeață, durere, mâncărimi sau umflături.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Lonapegsomatropina Ascendis Pharma, citiți prospectul.

Medicamentele care conțin hormon de creștere, cum este Lonapegsomatropina Ascendis Pharma, sunt contraindicate dacă pacientul are o tumoră activă sau o boală acută cu potențial letal. De asemenea, medicamentul este contraindicat pentru stimularea creșterii la copiii și adolescenții cu epifize închise (când oasele lungi s-au oprit din creștere). Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Lonapegsomatropina Ascendis Pharma în UE?

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Lonapegsomatropinei Ascendis Pharma sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE. Medicamentul s-a dovedit eficace atât la pacienții tratați anterior cu hormonul de creștere, cât și la pacienții diagnosticați recent care nu mai fuseseră tratați, iar majoritatea pacienților au preferat injecțiile săptămânale. Siguranța pe termen scurt pare a fi în concordanță cu cea a altor produse pe bază de hormoni de creștere; deși orice risc pe termen mai lung asociat cu vectorul substanței active pare puțin probabil, acesta va fi monitorizat cu atenție după punerea pe piață.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Lonapegsomatropinei Ascendis Pharma?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Lonapegsomatropinei Ascendis Pharma, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Lonapegsomatropinei Ascendis Pharma sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Lonapegsomatropina Ascendis Pharma sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Lonapegsomatropina Ascendis Pharma

Informații suplimentare cu privire la Lonapegsomatropina Ascendis Pharma sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.