



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5748/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (lonapegsomatropín)

Prehľad o lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma a na čo sa používa?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma je liek, ktorý sa používa na zlepšenie rastu u detí a dospievajúcich, u ktorých sa neprodukuje dostatočné množstvo rastového hormónu (nedostatok rastového hormónu alebo GHD). Liek je určený pre deti a dospievajúcich vo veku od 3 do 18 rokov.

Ochorenie GHD je zriedkavé, a preto bol liek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma 17. októbra 2019 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Liek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma obsahuje liečivo lonapegsomatropín.

Ako sa liek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma používa?

Výdaj lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý je kvalifikovaný a má skúsenosti s diagnostikou a liečbou GHD u detí.

Liek je dostupný vo forme injekcie s rôznymi silami, ktorá sa podáva pod kožu raz týždenne. Začiatková dávka závisí od telesnej hmotnosti a lekár ju potom individuálne upraví na základe odpovede. Pacienti si po príslušnom zaškolení môžu dávku vpichovať sami, prípadne im liek po ich zaškolení môžu vpichovať ich opatrovatelia.

Viac informácií o používaní lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma účinkuje?

Rastový hormón sa uvoľňuje v hypofýze (žľáza, ktorá sa nachádza v spodnej časti mozgu). Je dôležitý pre rast počas detstva a dospievania a ovplyvňuje tiež spôsob, akým telo využíva bielkoviny, tuky a sacharidy. Liečivo lonapegsomatropín je verzia ľudského rastového hormónu (somatropínu) a je naviazaný na tzv. nosič, ktorý ho chráni pred príliš rýchlym vylúčením z tela. Z lieku sa po injekcii pomaly uvoľňuje rastový hormón do tela, čiže injekcie sa nemusia podávať každý deň.

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



Aké prínosy lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii so 161 pacientmi vo veku od 3 do 12 rokov s neliečeným GHD sa preukázalo, že liek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma podávaný jedenkrát týždenne v ekvivalentných dávkach je rovnako účinný ako každodenné injekcie somatropínu. V štúdii sa merala priemerná rýchlosť rastu (rastu do výšky) počas roka, ktorá dosiahla 11,2 cm za rok v skupine, ktorej bol podávaný lonapegsomatropín, a 10,3 cm za rok v skupine, ktorá dostávala denne somatropín (priemerná rýchlosť rastu v oboch skupinách pred liečbou bola 3,9 cm za rok). Spoločnosť tiež predložila výsledky podporných štúdií vrátane pacientov, ktorí predtým podstúpili liečbu rastovým hormónom.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú bolesť hlavy, bolesť kĺbov, sekundárny hypotyreoidizmus (typ hypofunkcie štítnej žľazy) a reakcie v mieste vpichu injekcie, ako je začervenanie, bolesť, svrbenie alebo opuch.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Lieky obsahujúce rastový hormón, ako je Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, sa nesmú používať, ak má pacient aktívny nádor alebo akútne život ohrozujúce ochorenie. Liek sa nesmie používať ani na podporu rastu u detí s uzavretými epifýzami (ak veľké kosti už prestali rásť). Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Lonapegsomatropin Ascendis Pharma povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sú väčšie ako jeho riziká, a odporučila udeliť povolenie na používanie v EÚ. Preukázalo sa, že liek je účinný u pacientov, ktorí boli predtým liečení rastovým hormónom, ako aj u novodiagnostikovaných pacientov, ktorí ešte neboli liečení, a väčšina pacientov uprednostňovala týždenné injekcie. Zdá sa, že krátkodobá bezpečnosť je v súlade s inými liekmi obsahujúcimi rastový hormón a hoci sa nepredpokladá dlhodobé riziko z nosiča liečiva, bude sa pozorne sledovať po uvedení lieku na trh.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Ďalšie informácie o lieku Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.