



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5749/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (lonapegsomatropin)

Pregled zdravila Lonaegsomatropin Ascendis Pharma in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Lonaegsomatropin Ascendis Pharma in za kaj se uporablja?

Zdravilo Lonaegsomatropin Ascendis Pharma se uporablja za zdravljenje motenj rasti pri otrocih in mladostnikih zaradi nezadostnega sproščanja ravnega hormona (pomanjkanja ravnega hormona – GHD). Zdravilo je namenjeno otrokom in mladostnikom, starim od 3 do 18 let.

Bolezen GHD je redka, zato je bilo zdravilo Lonapegsomatropin Ascendis Pharma 17. oktobra 2019 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Zdravilo Lonapegsomatropin Ascendis Pharma vsebuje učinkovino lonapegsomatropin.

Kako se zdravilo Lonapegsomatropin Ascendis Pharma uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Lonapegsomatropin Ascendis Pharma je le na recept, zdravljenje z njim pa lahko uvede in nadzuruje le zdravnik, ki je usposobljen in ima izkušnje z diagnosticiranjem in zdravljenjem bolezni GHD pri otrocih.

Zdravilo je na voljo v obliki injekcij različnih jakosti, ki se dajejo v podkožje enkrat tedensko. Začetni odmerek je odvisen od telesne mase bolnika, zdravnik pa ga nato glede na odziv individualno prilagodi. Bolniki ali njihovi negovalci lahko po ustreznem usposabljanju odmerek injicirajo sami.

Za več informacij glede uporabe zdravila Lonapegsomatropin Ascendis Pharma glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Lonapegsomatropin Ascendis Pharma deluje?

Rastni hormon izloča hipofiza (žleza v možganskem dnu). Pomemben je za rast v otroštvu in adolescenci, vpliva pa tudi na presnovo beljakovin, maščob in ogljikovih hidratov v telesu. Učinkovina v zdravilu Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, lonapegsomatropin, je različica humanega ravnega hormona (somatropina), ki je bila pripojena na „nosilec“, ki ga ščiti pred prehitro odstranitvijo iz telesa.

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



Zdravilo po injiciranju počasi sprošča rastni hormon v telo, kar pomeni, da injekcij ni treba dajati vsak dan.

Kakšne koristi zdravila Lonapegsomatropin Ascendis Pharma so se pokazale v študijah?

V glavni študiji, v katero je bilo vključenih 161 bolnikov, starih od 3 do 12 let, s predhodno nezdravljeno boleznijo GHD, se je pokazalo, da je uporaba ekvivalentnih odmerkov zdravila Lonapegsomatropin Ascendis Pharma enkrat na teden enako učinkovita kot dajanje dnevni injicij somatropina. V študiji, v kateri so merili povprečno hitrost rasti (hitrost povečanja telesne višine) v obdobju več kot enega leta, se je višina bolnikov povečala za 11,2 cm na leto v skupini, ki je prejela lonapegsomatropin, in 10,3 cm na leto v skupini, ki je vsakodnevno prejela somatropin (povprečna stopnja rasti v obeh skupinah pred zdravljenjem je bila 3,9 cm na leto). Podjetje je predstavilo tudi rezultate podpornih študij, v katere so bili vključeni bolniki, ki so se predhodno že zdravili z rastnim hormonom.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 bolnikov) so glavobol, bolečine v sklepih, sekundarni hipotiroidizem (vrsta zmanjšane delovanja ščitnice) in reakcije na mestu injiciranja, kot so pordelost, bolečina, srbenje ali otekanje.

Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila z rastnim hormonom, kot je zdravilo Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, se ne smejo uporabljati, če ima bolnik aktiven tumor ali akutno smrtno nevarno bolezen. Prav tako se ne sme uporabljati za pospeševanje rasti pri otrocih z zaprtimi epifizami (ko velike kosti prenehajo rasti). Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Lonapegsomatropin Ascendis Pharma odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Lonapegsomatropin Ascendis Pharma večje od z njim povezanih tveganj, in da se lahko odobri za uporabo v EU. Zdravilo se je izkazalo za učinkovito tako pri bolnikih, ki so bili predhodno zdravljeni z rastnim hormonom, kot pri na novo diagnosticiranih bolnikih, ki še niso bili zdravljeni, pri čemer je večina bolnikov izrazila večjo naklonjenost tedenskemu injiciranju zdravila. Zdi se, da je kratkoročna varnost zdravila primerljiva z drugimi zdravili, ki vsebujejo rastne hormone, in čeprav je morebitno dolgoročno tveganje, ki izvira iz nosilca učinkovine, malo verjetno, bo to po sprostitev zdravila na trg natančno spremljano.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Lonapegsomatropin Ascendis Pharma upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Lonapegsomatropin Ascendis Pharma stalno spremljajo. Domnevni neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravlilu Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Nadaljnje informacije za zdravilo Lonapegsomatropin Ascendis Pharma so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.