



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/5750/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (*lonapegsomatropin*)

Sammanfattning av Lonapegsomatropin Ascendis Pharma och varför det är godkänt inom EU

Vad är Lonapegsomatropin Ascendis Pharma och vad används det för?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma är ett läkemedel som används för att förbättra tillväxten hos barn och ungdomar som inte producerar tillräckligt med tillväxthormon (tillväxthormonbrist eller GHD). Läkemedlet är avsett för barn och ungdomar i åldern 3–18 år.

GHD är sällsynt och Lonapegsomatropin Ascendis Pharma klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 17 oktober 2019. Mer information om klassificeringen som sär-läkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma innehåller den aktiva substansen lonapegsomatropin.

Hur används Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare som är kvalificerad och har erfarenhet av att diagnostisera och behandla GHD hos barn.

Läkemedlet finns som en injektion i olika styrkor och ska ges under huden en gång i veckan. Startdosen beror på kroppsvikten och justeras sedan individuellt av läkaren utifrån behandlingssvaret. Patienterna eller deras vårdare kan själva injicera dosen efter att de fått lära sig hur man gör.

För mer information om hur du använder Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Tillväxthormon utsöndras av hypofysen (en körtel i hjärnans nedre del). Det är viktigt för tillväxten under barn- och ungdomsåren, och det påverkar även hur kroppen tar hand om protein, fett och kolhydrater. Den aktiva substansen i läkemedlet, lonapegsomatropin, är en version av humant tillväxthormon (somatropin) som har bundits till en bärare som skyddar det mot att alltför snabbt

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



avlägsnas från kroppen. Läkemedlet frisätter långsamt tillväxthormon i kroppen efter att det har injicerats, vilket innebär att injektionerna inte behöver ges varje dag.

Vilka fördelar med Lonapegsomatropin Ascendis Pharma har visats i studierna?

I en huvudstudie på 161 patienter i åldern 3–12 år med tidigare obehandlad GHD visades att Lonapegsomatropin Ascendis Pharma som gavs en gång i veckan i likvärdiga doser var lika effektivt som dagliga somatropininjektioner. I studien mättes den genomsnittliga tillväxthastigheten under ett år, som var 11,2 cm per år i gruppen som fick lonapegsomatropin och 10,3 cm per år i grupperna som fick somatropin varje dag (den genomsnittliga tillväxthastigheten i båda grupperna före behandlingen var 3,9 cm per år). Företaget lade också fram resultaten av understödande studier, däribland från patienter som tidigare fått behandling med tillväxthormon.

Vilka är riskerna med Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (kan förekomma hos upp till cirka 1 av 10 användare) är huvudvärk, ledsmärta, sekundär hypotyreoidism (en typ av låg sköldkörtelfunktion) och reaktioner på injektionsstället, såsom rodnad, smärta, klåda eller svullnad.

En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Lonapegsomatropin Ascendis Pharma finns i bipacksedeln.

Läkemedel med tillväxthormon såsom Lonapegsomatropin Ascendis Pharma får inte användas om patienten har en aktiv tumör eller en akut livshotande sjukdom. Läkemedlet får inte heller användas för att främja tillväxt hos barn med slutna epifyser (när de stora skelettbenen har slutat växa). En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför är Lonapegsomatropin Ascendis Pharma godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Lonapegsomatropin Ascendis Pharma är större än riskerna och att Lonapegsomatropin Ascendis Pharma kan godkännas för försäljning i EU. Läkemedlet visade sig vara effektivt både hos patienter som tidigare behandlats med tillväxthormon och hos nydiagnostiserade patienter som ännu inte behandlats, och de flesta patienterna föredrog veckovisa injektioner. Säkerheten på kort sikt ser ut att ligga i linje med andra tillväxthormonläkemedel. Även om den eventuella långsiktiga risken med den aktiva substansens bärardel verkar osannolik kommer denna risk att övervakas noga efter godkännandet för försäljning.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Lonapegsomatropin Ascendis Pharma har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Lonapegsomatropin Ascendis Pharma kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Lonapegsomatropin Ascendis Pharma utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienter.

Mer information om Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Mer information om Lonapegsomatropin Ascendis Pharma finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.