

EMA/5754/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (*Lonapegsomatropin*)

Übersicht über Lonapegsomatropin Ascendis Pharma und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Lonapegsomatropin Ascendis Pharma und wofür wird es angewendet?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma ist ein Arzneimittel, das zur Verbesserung des Wachstums bei Kindern und Jugendlichen angewendet wird, die nicht genügend Wachstumshormon produzieren (Wachstumshormonmangel). Das Arzneimittel ist für Kinder und Jugendliche im Alter von 3 bis 18 Jahren bestimmt.

Wachstumshormonmangel ist selten, und Lonapegsomatropin Ascendis Pharma wurde am 17. Oktober 2019 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma enthält den Wirkstoff Lonapegsomatropin.

Wie wird Lonapegsomatropin Ascendis Pharma angewendet?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem Arzt eingeleitet und überwacht werden, der in der Diagnose und Behandlung von Wachstumshormonmangel bei Kindern qualifiziert und erfahren ist.

Das Arzneimittel ist als Injektion in verschiedenen Stärken erhältlich und wird einmal wöchentlich unter die Haut verabreicht. Die Anfangsdosis hängt vom Körpergewicht ab und wird anschließend vom Arzt je nach Ansprechen individuell angepasst. Nach entsprechender Einweisung können die Patienten oder ihre Betreuungspersonen die Dosis selbst injizieren.

Weitere Informationen zur Anwendung von Lonapegsomatropin Ascendis Pharma entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Das Wachstumshormon wird von der Hirnanhangdrüse, einem Organ an der Unterseite des Gehirns, ausgeschüttet. Es ist wichtig für das Wachstum im Kindes- und Jugendalter und spielt außerdem eine Rolle bei der Verarbeitung von Proteinen, Fett und Kohlenhydraten durch den Körper. Der Wirkstoff in dem Arzneimittel, Lonapegsomatropin, ist eine Version des menschlichen Wachstumshormons (Somatropin), das an einen „Träger“ gebunden ist, der es vor einer zu schnellen Ausscheidung aus dem Körper schützt. Das Arzneimittel setzt nach der Injektion langsam Wachstumshormon in den Körper frei, sodass nicht täglich Injektionen gegeben werden müssen.

Welchen Nutzen hat Lonapegsomatropin Ascendis Pharma in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie mit 161 Patienten im Alter von 3 bis 12 Jahren mit zuvor unbehandeltem Wachstumshormonmangel erwies sich Lonapegsomatropin Ascendis Pharma einmal wöchentlich in äquivalenten Dosen als ebenso wirksam wie tägliche Somatropin-Injektionen. In der Studie wurde die durchschnittliche Wachstumsrate (Wachstumsgeschwindigkeit) über ein Jahr gemessen. Sie betrug in der mit Lonapegsomatropin behandelten Gruppe 11,2 cm pro Jahr und in der Gruppe, die täglich Somatropin erhielt, 10,3 cm pro Jahr (die durchschnittliche Wachstumsrate in beiden Gruppen betrug vor der Behandlung 3,9 cm pro Jahr). Das Unternehmen legte außerdem die Ergebnisse unterstützender Studien vor, an denen Patienten teilnahmen, die zuvor eine Behandlung mit Wachstumshormon erhalten hatten.

Welche Risiken sind mit Lonapegsomatropin Ascendis Pharma verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (die bis zu etwa 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Kopfschmerzen, Gelenkschmerzen, sekundäre Hypothyreose (eine Art von niedriger Schilddrüsenfunktion) und Reaktionen an der Injektionsstelle wie Rötung, Schmerzen, Juckreiz oder Schwellung.

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Lonapegsomatropin Ascendis Pharma berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wachstumshormon-Arzneimittel wie Lonapegsomatropin Ascendis Pharma dürfen nicht angewendet werden, wenn der Patient einen aktiven Tumor oder eine akute lebensbedrohliche Erkrankung hat. Das Arzneimittel darf auch nicht zur Wachstumsförderung bei Kindern mit geschlossenen Epiphysen (wenn die großen Knochen das Wachstum abgeschlossen haben) angewendet werden. Die vollständige Auflistung der Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Lonapegsomatropin Ascendis Pharma in der EU zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Lonapegsomatropin Ascendis Pharma gegenüber den Risiken überwiegt und es für die Anwendung in der EU zugelassen werden kann. Das Arzneimittel erwies sich sowohl bei zuvor mit Wachstumshormon behandelten Patienten als auch bei neu diagnostizierten, noch nicht behandelten Patienten als wirksam, und die wöchentlichen Injektionen wurden von den meisten Patienten bevorzugt. Die kurzfristige Sicherheit scheint mit anderen Wachstumshormonprodukten übereinzustimmen; auch wenn ein langfristiges Risiko durch den Trägerteil des Wirkstoffs unwahrscheinlich erscheint, wird dies nach der Markteinführung engmaschig überwacht.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Lonapegsomatropin Ascendis Pharma ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Lonapegsomatropin Ascendis Pharma kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Lonapegsomatropin Ascendis Pharma werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Weitere Informationen zu Lonapegsomatropin Ascendis Pharma finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.