

Londres, 21 de febrero de 2008
Doc. Ref. EMEA/166902/2008

**PREGUNTAS Y RESPUESTAS SOBRE LA RETIRADA DE LA SOLICITUD DE
MODIFICACIÓN EN LA AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN
de
NUTROPINAQ**

Denominación Común Internacional (DCI): *somatropina*

El 24 de enero de 2008, Ipsen Ltd notificó oficialmente al Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) que deseaba retirar su solicitud de una nueva indicación para NutropinAq como tratamiento a largo plazo de niños con baja estatura idiopática grave.

¿Qué es NutropinAq?

NutropinAq es una solución inyectable que se presenta en un cartucho y que contiene el principio activo somatropina. El medicamento se administra inyectándolo bajo la piel mediante una pluma de inyección diseñada especialmente para el cartucho.

NutropinAq se emplea en la actualidad para tratar a niños:

- que no crecen por falta de hormona del crecimiento;
- de baja estatura por padecer síndrome de Turner (un trastorno genético raro que afecta a las niñas). Debe confirmarse con un análisis cromosómico (prueba de ADN);
- que antes de la pubertad no crecen a causa de una enfermedad renal de larga duración (insuficiencia renal crónica). NutropinAq se usa hasta que el niño recibe un trasplante de riñón.

NutropinAq se usa también como tratamiento sustitutivo en adultos con déficit de hormona del crecimiento. Este déficit puede haber empezado en la edad adulta o en la infancia, y debe confirmarse mediante la realización de pruebas antes del comienzo del tratamiento.

¿A qué uso estaba destinado NutropinAq?

En la nueva indicación, se esperaba usar NutropinAq para tratar a niños con «baja estatura idiopática grave» (trastorno grave del crecimiento sin causa determinable). El medicamento iba a utilizarse como tratamiento a largo plazo en niños cuya estatura se previera que iba a ser baja, en comparación con la de sus padres, una vez que alcanzaran la edad adulta. Asimismo, iba a utilizarse una vez excluidas todas las causas posibles de baja estatura infantil, como los niveles bajos de hormona del crecimiento.

¿Cómo actúa NutropinAq?

La hormona del crecimiento es una sustancia segregada por la hipófisis, glándula situada en la base del cerebro. Esta glándula promueve el crecimiento durante la infancia y la adolescencia, y actúa también sobre el manejo por parte del organismo de las proteínas, las grasas y los hidratos de carbono. El principio activo de NutropinAq, la somatropina, es idéntico a la hormona del crecimiento humana. Se produce por un método conocido como “tecnología recombinante del ADN”: la hormona es elaborada por una bacteria que ha recibido un gen (ADN) que la hace capaz de producirla.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de la solicitud remitida al CHMP?

La empresa presentó los resultados de un estudio principal en el que se examinó la eficacia de NutropinAq en 118 niños con baja estatura que no tenían déficit de hormona del crecimiento ni ningún otro cuadro identificable causante. En el primer año, se comparó la eficacia de NutropinAq administrado tres veces por semana con la de la ausencia de tratamiento. Después, el diseño del estudio se modificó para que los pacientes recibieran NutropinAq tres veces por semana o una vez al

día. Se empleó como criterio principal de valoración de la eficacia el aumento de la estatura adulta. Para ello, se midió la diferencia entre la estatura que se previó que alcanzaría cada niño de acuerdo con su altura y madurez ósea antes de empezar a recibir NutropinAq y la estatura real que alcanzó en la edad adulta. En total, los niños recibieron el medicamento durante un período de hasta diez años.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La evaluación ya había terminado y el CHMP había emitido un dictamen negativo. La empresa había solicitado un nuevo examen del dictamen negativo, pero dicho examen aún no había acabado cuando la empresa retiró la solicitud.

¿Qué recomendaba el CHMP en ese momento?

Basándose en la revisión de los datos y en la respuesta de la empresa a la lista de preguntas del CHMP, en el momento de la retirada el CHMP ya había emitido un dictamen negativo y no recomendaba la aprobación de NutropinAq para el tratamiento a largo plazo de los niños con baja estatura idiopática grave.

¿Cuáles fueron las reservas principales del CHMP?

El CHMP mostró su preocupación por el hecho de que sólo se hubiera demostrado un modesto beneficio de NutropinAq en la baja estatura idiopática grave, concretado en una ganancia media de estatura en la edad adulta de unos 6 a 7 cm en el estudio principal. Además, no se había observado ningún beneficio del medicamento en la mejora del bienestar psicológico o social del niño. El Comité expresó su preocupación por la posibilidad de que el uso de NutropinAq durante los períodos prolongados necesarios para tratar la baja estatura idiopática grave aumentase el riesgo de aparición de tumores o diabetes en épocas posteriores de la vida.

Por lo tanto, en el momento de la retirada, la opinión del CHMP era que los beneficios de NutropinAq como tratamiento a largo plazo de los niños con baja estatura idiopática grave no eran mayores que sus posibles riesgos.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

La carta de retirada de la empresa dirigida a la EMEA puede consultarse [aquí](#).

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo que utilizan NutropinAq?

La empresa informó al CHMP de que no existe ningún ensayo clínico ni programa de uso compasivo de NutropinAq que esté actualmente en marcha para esta indicación.

¿En qué situación queda NutropinAq para el tratamiento del trastorno del crecimiento por déficit de hormona del crecimiento, síndrome de Turner o insuficiencia renal crónica?

No hay consecuencias para el uso de NutropinAq en las indicaciones autorizadas, para las que la relación entre beneficio y riesgo sigue siendo favorable.