

EMA/5760/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (lonapegsomatropiini)

Yleistiedot Lonapegsomatropin Ascendis Pharmasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Lonapegsomatropin Ascendis Pharma on ja mihin sitä käytetään?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma on lääke, jota käytetään edistämään sellaisten lasten ja nuorten kasvua, joilla kasvuhormonin tuotanto on riittämätöntä (kasvuhormonin vajaus eli GHD). Lääkevalmiste on tarkoitettu 3–18-vuotiaille lapsille ja nuorille.

GHD on harvinainen sairaus, ja Lonapegsomatropin Ascendis Pharma nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 17. lokakuuta 2019. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä on täällä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Lonapegsomatropin Ascendis Pharman vaikuttava aine on lonapegsomatropiini.

Miten Lonapegsomatropin Ascendis Pharmaa käytetään?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharmaa saa vain lääkärin määräyksestä. Hoidon aloittavan ja sitä valvovan lääkärin on oltava pätevä ja kokenut diagnosoimaan ja hoitamaan lapsia, joilla on GHD.

Eri vahvuisina injektioina saatava lääke annetaan ihon alle kerran viikossa. Aloitusannos määräytyy potilaan painon mukaan. Lääkäri säätää annosta potilaan yksilöllisen vasteen mukaan. Potilaat tai heistä huolehtivat henkilöt voivat injektoida annoksen itse saatuaan siihen asianmukaisen opastuksen.

Lisätietoja Lonapegsomatropin Ascendis Pharman käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Lonapegsomatropin Ascendis Pharma vaikuttaa?

Aivolisäke (aivojen pohjassa oleva rauhanen) vapauttaa kasvuhormonia. Se on tärkeää lapsen ja nuoren kasvuun ja vaikuttaa myös siihen, miten elimistö käsittelee proteiineja, rasvaa ja hiilihydraatteja. Lääkkeen vaikuttava aine lonapegsomatropiini on toisinto ihmisen kasvuhormonista (somatropiinista). Se on kiinnittynyt ns. kantajaan, joka estää sitä poistumasta elimistöstä liian nopeasti. Injektion jälkeen lääke vapauttaa kasvuhormonia hitaasti elimistöön, mikä tarkoittaa sitä, että injektioita ei tarvitse antaa joka päivä.

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



Mitä hyötyä Lonapegsomatropin Ascendis Pharmasta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa, johon osallistui 161 aiemmin hoitamatonta 3–12-vuotiasta GHD-potilasta, kerran viikossa annetun Lonapegsomatropin Ascendis Pharman osoitettiin olevan yhtä tehokas kuin päivittäin annettu somatropiini-injektio vastaavina annoksina. Tutkimuksessa mitattiin keskimääräistä kasvuvauhtia (kasvunopeus) vuoden kuluessa. Se oli 11,2 cm vuodessa lonapegsomatropiinia saaneessa ryhmässä ja 10,3 cm vuodessa somatropiinia saaneessa ryhmässä (keskimääräinen kasvunopeus molemmissa ryhmissä ennen hoitoa oli 3,9 cm vuodessa). Yhtiö esitti myös tuloksia tukea antavista tutkimuksista, joissa oli mukana kasvuhormonihoitoa aiemmin saaneita potilaita.

Mitä riskejä Lonapegsomatropin Ascendis Pharmaan liittyy?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharman yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään noin 1 potilaalle 10:stä) ovat päänsärky, nivelkipu, sekundaarinen kilpirauhasen vajaatoiminta (yksi kilpirauhasen vajaatoiminnan tyyppi) sekä injektiokohdan reaktiot, kuten punoitus, kipu, kutina tai turvotus.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Lonapegsomatropin Ascendis Pharman haittavaikutuksista.

Jos potilaalla on aktiivinen kasvain tai akuutti henkeä uhkaava sairaus, hänelle ei saa antaa kasvuhormonilääkkeitä, kuten Lonapegsomatropin Ascendis Pharmaa. Lääkettä ei saa myöskään käyttää edistämään kasvua lapsilla, joiden epifyysit ovat sulkeutuneet (jolloin pitkien luiden kasvu on päättynyt). Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

Miksi Lonapegsomatropin Ascendis Pharma on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Lonapegsomatropin Ascendis Pharman hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa. Lääkkeen osoitettiin olevan tehokas sekä aiemmin kasvuhormonilla hoidetuilla potilailla että hiljattain diagnosoiduilla potilailla, jotka eivät olleet vielä saaneet hoitoa. Enemmistö potilaista suosi kerran viikossa otettavia injektioita. Lyhyen aikavälin turvallisuus vaikuttaa samanlaiselta kuin muiden kasvuhormonivalmisteiden turvallisuus. Vaikka vaikuttavan aineen kantajaosasta mahdollisesti aiheutuva pitkän aikavälin riski vaikuttaa epätodennäköiseltä, sitä seurataan tiiviisti lääkevalmisteen markkinoille tulon jälkeen.

Miten voidaan varmistaa Lonapegsomatropin Ascendis Pharman turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Lonapegsomatropin Ascendis Pharman käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Lonapegsomatropin Ascendis Pharman käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Lonapegsomatropin Ascendis Pharmasta ilmoitetut epäillyt haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Lonapegsomatropin Ascendis Pharmasta

Lisää tietoa Lonapegsomatropin Ascendis Pharmasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.