

EMA/5762/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (*lonapegsomatropine*)

Aperçu de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Lonapegsomatropin Ascendis Pharma et dans quel cas est-il utilisé?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma est un médicament utilisé pour améliorer la croissance des enfants et des adolescents qui ne produisent pas suffisamment l'hormone de croissance (déficit en hormone de croissance ou GHD). Le médicament est destiné aux enfants et aux adolescents âgés de 3 à 18 ans.

Le déficit en hormone de croissance est rare et Lonapegsomatropin Ascendis Pharma a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 17 octobre 2019. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma contient la substance active lonapegsomatropine.

Comment Lonapegsomatropin Ascendis Pharma est-il utilisé?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin qualifié et expérimenté dans le diagnostic et la prise en charge du déficit en hormone de croissance chez l'enfant.

Le médicament se présente sous la forme d'une injection disponible en différents dosages, à administrer sous la peau une fois par semaine. La dose initiale dépend du poids corporel du patient et elle est ensuite ajustée de façon individuelle par le médecin, en fonction de la réponse au traitement. Les patients ou leurs soignants peuvent injecter eux-mêmes la dose après avoir reçu une formation appropriée.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Lonapegsomatropin Ascendis Pharma agit-il?

L'hormone de croissance est sécrétée par la glande pituitaire (une glande située à la base du cerveau). Elle est importante pour la croissance pendant l'enfance et l'adolescence, et elle influence également la façon dont le corps prend en charge les protéines, la graisse et les glucides. La substance active du médicament, la lonapegsomatropine, est une version de l'hormone de croissance humaine (somatropine) qui a été fixée à un «vecteur» qui la protège contre une élimination trop rapide du corps. Le médicament libère lentement l'hormone de croissance dans le corps après l'injection, ce qui signifie que les injections ne doivent pas être administrées tous les jours.

Quels sont les bénéfices de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma démontrés au cours des études?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma administré une fois par semaine à des doses équivalentes s'est avéré aussi efficace que des injections quotidiennes de somatropine dans une étude principale portant sur 161 patients âgés de 3 à 12 ans présentant un déficit en hormone de croissance non traité antérieurement. L'étude a mesuré le taux de croissance moyen (vitesse de croissance) sur une année, lequel était de 11,2 cm par an dans le groupe recevant la lonapegsomatropine contre 10,3 cm par an chez les patients recevant la somatropine quotidiennement (le taux de croissance moyen dans les deux groupes avant le traitement était de 3,9 cm par an). La société a également présenté les résultats d'études complémentaires incluant des patients ayant précédemment reçu un traitement par hormone de croissance.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les suivants: maux de tête, douleurs articulaires, hypothyroïdie secondaire (un type d'affaiblissement de la fonction thyroïdienne) et réactions au site d'injection, telles que des rougeurs, douleurs, démangeaisons ou gonflements.

Pour une description complète des effets indésirables observés sous Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, voir la notice.

Les médicaments contenant de l'hormone de croissance, tels que Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, ne doivent pas être utilisés si le patient présente une tumeur active ou une maladie aiguë mettant en jeu le pronostic vital. Le médicament ne doit pas non plus être utilisé pour favoriser la croissance chez les enfants dont les épiphyses sont soudées (lorsque les gros os ont fini de se développer). Pour une liste complète des restrictions, voir la notice.

Pourquoi Lonapegsomatropin Ascendis Pharma est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE. Le médicament s'est avéré efficace à la fois chez les patients précédemment traités par l'hormone de croissance et chez ceux dont la maladie a été récemment diagnostiquée et qui n'avaient pas encore reçu de traitement. Par ailleurs, la plupart des patients ont déclaré préférer les injections hebdomadaires. La sécurité à court terme semble être conforme à celle d'autres produits à base d'hormone de croissance. Bien qu'un risque à plus long terme lié à la partie vectrice de la substance active semble peu probable, celui-ci sera étroitement surveillé après la mise sur le marché.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Lonapegsomatropin Ascendis Pharma:

Des informations sur Lonapegsomatropin Ascendis Pharma sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.