

EMA/5746/2022
EMA/H/C/005367

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (*lonapegsomatropina*)

Um resumo sobre Lonapegsomatropin Ascendis Pharma e porque está autorizado na UE

O que é Lonapegsomatropin Ascendis Pharma e para que é utilizado?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma é um medicamento utilizado para melhorar o crescimento em crianças e adolescentes que não produzem hormona do crescimento suficiente (deficiência de hormona do crescimento ou GHD). O medicamento destina-se a crianças e adolescentes dos 3 aos 18 anos de idade.

A GHD é uma doença rara, e Lonapegsomatropin Ascendis Pharma foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 17 de outubro de 2019. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192213.

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma contém a substância ativa lonapegsomatropina.

Como se utiliza Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e monitorizado por um médico qualificado e com experiência no diagnóstico e tratamento da GHD em crianças.

O medicamento está disponível na forma de injeção de várias dosagens, a administrar sob a pele uma vez por semana. A dose inicial depende do peso corporal e é depois ajustada individualmente pelo médico com base na resposta. Os doentes ou os seus prestadores de cuidados podem autoinjetar a dose após treino adequado.

Para mais informações sobre a utilização de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

A hormona do crescimento é libertada pela glândula pituitária (uma glândula situada na base do cérebro). É importante para o crescimento durante a infância e a adolescência, afetando também a

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



forma como o organismo processa as proteínas, as gorduras e os hidratos de carbono. A substância ativa do medicamento, a lonapegsomatropina, é uma versão da hormona do crescimento humana (somatropina) que foi ligada a um «transportador» que a protege de ser removida do organismo de forma demasiado rápida. O medicamento liberta lentamente a hormona do crescimento no organismo após a injeção, o que significa que não é necessário administrar injeções todos os dias.

Quais os benefícios demonstrados por Lonapegsomatropin Ascendis Pharma durante os estudos?

Lonapegsomatropin Ascendis Pharma administrado uma vez por semana em doses equivalentes demonstrou ser tão eficaz como as injeções diárias de somatropina num estudo principal que incluiu 161 doentes com idades compreendidas entre os 3 e os 12 anos com DGH não tratada previamente. O estudo mediu a taxa média de crescimento (velocidade de altura) ao longo de um ano, que foi de 11,2 cm por ano no grupo que recebeu lonapegsomatropina e de 10,3 cm por ano no grupo que recebeu somatropina diariamente (a taxa média de crescimento em ambos os grupos antes do tratamento era de 3,9 cm por ano). A empresa apresentou igualmente os resultados de estudos de suporte que incluiu doentes que tinham recebido anteriormente tratamento com hormona do crescimento.

Quais são os riscos associados a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma (que podem afetar cerca de 1 em cada 10 pessoas) são dor de cabeça, dor nas articulações, hipotiroidismo secundário (um tipo de função tiroideia reduzida) e reações no local da injeção, tais como vermelhidão, dor, comichão ou inchaço.

Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente a Lonapegsomatropin Ascendis Pharma, consulte o Folheto Informativo.

A utilização de medicamentos com hormona do crescimento como Lonapegsomatropin Ascendis Pharma é contraindicada se o doente apresentar um tumor ativo ou uma doença aguda potencialmente fatal. O medicamento é também contraindicado para promover o crescimento em crianças com epífises fechadas (quando os ossos grandes terminaram o crescimento). Para a lista completa de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Lonapegsomatropin Ascendis Pharma autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE. O medicamento demonstrou ser eficaz tanto em doentes anteriormente tratados com hormona do crescimento como em doentes recentemente diagnosticados que ainda não tinham sido tratados, tendo a maioria dos doentes preferido as injeções semanais. A segurança a curto prazo parece estar em consonância com outros medicamentos de hormona do crescimento; embora qualquer risco a longo prazo da parte portadora da substância ativa pareça improvável, este será monitorizado de perto após a comercialização.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Lonapegsomatropin Ascendis Pharma são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Lonapegsomatropin Ascendis Pharma são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Lonapegsomatropin Ascendis Pharma

Mais informações sobre Lonapegsomatropin Ascendis Pharma podem ser encontradas no sítio da internet da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin-ascendis-pharma.