

## Metodevarsel

### 1. Status og oppsummering

## Lonapegsomatropin til behandling av veksthormonmangel hos barn

### 1.1 Oppsummering\*

Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU, men er under vurdering hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1,2).

### 1.2 Kort om metoden

ATC-kode: H01A

Virkestoffnavn:  
Lonapegsomatropin

Handelsnavn: NA

Legemiddelform: Pulver og væske til injeksjonsvæske, oppløsning

MT-søker/innehaver:  
Ascendis Pharma  
Endocrinology Division A/S  
(1)

### 1.3 Metodetype

- Legemiddel  
 Annet: *diagnostikk/tester/medisinsk utstyr, prosedyre/organisatoriske tiltak*

### 1.4 Tag (merknad)

- Vaksine  
 Genterapi  
 Medisinsk stråling  
 Companion diagnostics  
 Annet:

### 1.5 Finansieringsansvar

- Spesialisthelsetjenesten  
 Folketrygd: blåresept  
 Kommune  
 Annet:

### 1.6 Fagområde

Endokrine sykdommer

### 1.7 Bestillingsanbefaling

#### Metodevurderinger

- Fullstendig metodevurdering  
 Hurtig metodevurdering (CUA)  
 Forenklet vurdering  
 Avvente bestilling  
 Ingen metodevurdering

Kommentar:

### 1.8 Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

- Klinisk effekt relativ til komparator  
 Sikkerhet relativ til komparator  
 Kostnader / Ressursbruk  
 Kostnadseffektivitet  
 Juridiske konsekvenser  
 Etske vurderinger  
 Organisatoriske konsekvenser  
 Annet

Kommentar:

Folkehelseinstituttet har i samarbeid med Statens legemiddelverk ansvar for den nasjonale funksjonen for metodevarsling. Metodevarsling skal sikre at nye og viktige metoder for norsk helsetjeneste blir identifisert og prioritert for metodevurdering. Et metodevarsel er ingen vurdering av metoden. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarsler. Metodevarsler som skal vurderes på nasjonalt nivå i Bestillerforum RHF til spesialisthelsetjenesten publiseres på [nyemetoder.no](http://nyemetoder.no). For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se [Om MedNytt](http://OmMedNytt).

\*Et metodevarsel er en kort beskrivelse av en legemiddelindikasjon (metode) på et tidlig tidspunkt, og oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](http://Legemiddelsøk.no).

## 2. Beskrivelse av metoden

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Veksthormonmangel er en sykdom som skyldes at pasienten produserer mindre veksthormon enn normalt. Veksthormon blir dannet i hypofysen og virker inn på stoffskiftet, muskler, sinnstemning og lengdevekst. Både hos barn og voksne fører mangel på veksthormon til at de får nedsatt muskelmasse og økt mengde kroppsfett. Gradvis utvikler man muskelsvekkelse, nedsatt energi og i noen tilfeller en unormal tretthet. På litt lengre sikt kan sykdommen føre til tidlig åreforkalkning.

I sjeldne tilfeller er sykdommen medfødt, oftest på grunn av såkalte mutasjoner i arveanlegget. Det mest vanlige er at man utvikler sykdommen hvis man har en betennelse eller svulster nær hypofysen (3). Mistanke om veksthormonmangel hos barn må utredes videre med blodprøver eller blant annet endokrinologiske tester (4).

EMA anslår at ca. 4 av 10 000 personer i EU har veksthormonmangel (2). Det er usikkert hvor mange norske pasienter som vil være aktuell for metoden.

### Dagens behandling

Behandling av veksthormonmangel avhenger av hva som er årsaken. Hvis det er endokrinologiske årsaker behandles det ved daglige injeksjoner av veksthormoner under huden. Veksthormon fra hypofysen fra friske personer frigis ofte i løpet av natten og det er derfor best å foreta injeksjon om kvelden (2).

### Virkningsmekanisme

Lonapegsomatropin er et 'prodrug' av somatropin (humant veksthormon), som omdannes til somatropin i kroppen. Somatropin er festet til polyetylenglykol (PEG). Festet mellom de to forventes å brytes ned gradvis, og da vil somatropin frigjøres over en lengre periode og man kan klare seg med færre injeksjoner enn andre veksthormoner (2).

### Tidligere godkjent indikasjon

NA

### Mulig indikasjon

Til behandling av veksthormonmangel hos barn (1, 5).

### Kommentar fra FHI ved Companion Diagnostics

- Metoden **vil medføre** bruk av ny diagnostisk metode (ny diagnostisk praksis)
- Metoden **vil ikke medføre** bruk av ny diagnostisk metode (allerede etablert diagnostisk praksis)
- Det er på nåværende tidspunkt **uavklart** om metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode

Kommentar fra FHI:

### 3. Dokumentasjonsgrunnlag

#### 3.1 Relevante og sentrale kliniske studier

Det foreligger klinisk dokumentasjon i form av minst en klinisk studie.

Populasjon (n=antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer, fase	Tidsperspektiv resultater
Barn mellom 3 og 12 år diagnostisert med GHD i Tanner stadie 1 (n=161)	En ukentlig injeksjon av lonapegsomatropin,	Daglig injeksjon av genotropin	Årlig lengdevekst	<a href="#">NCT02781727</a> , Fase 3 - åpen	Avsluttet
Barn mellom 6 måneder og 17 år diagnostisert med GHD (Growth Hormone Deficiency) (n=146)	En ukentlig injeksjon av TransCon hGH	Ingen	Forekomst av behandlingsrelaterte bivirkninger	<a href="#">NCT03305016</a> , Fase 3 - åpen	Avsluttet
Barn mellom 1 og 18 år som tidligere har gjennomført en tidligere fase 3 med lonapegsomatropin (n=300)	En ukentlig injeksjon av TransCon hGH	Ingen	Forekomst av behandlingsrelaterte bivirkninger	<a href="#">NCT03344458</a> , Fase 3 - åpen	Pågående, desember 2021

#### 3.2 Metodevurderinger og -varsel

<b>Metodevurdering</b> - <i>nasjonalt/lokalt</i> -	Annen behandlingsmetode som omfatter lignende indikasjon (veksthormonmangel hos voksne) er til nasjonal metodevurdering (for status se NyeMetoder <a href="#">ID2020_028</a> ). I tillegg er en metode for diagnostisering av veksthormonmangel hos voksne til nasjonal vurdering (for status se NyeMetoder <a href="#">ID2018_046</a> ).
<b>Metodevurdering / systematiske oversikt</b> - <i>internasjonalt</i> -	Ingen relevante identifisert
<b>Metodevarsel</b>	Ingen relevante identifisert

## 4. Referanser

- (1) Committee for medicinal products for human use (CHMP) - Agenda for the meeting on 25-29 January 2021. European Medicines Agency, EMA. Tilgjengelig fra <https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-agenda-25-29-january-2021-meeting.pdf>
- (2) European Medicines Agency, EMA. Hentet 16.03.2021, fra <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3192213>
- (3) Felleskatalogen (01.09.2015). Hentet 23.03.2021, fra <https://www.felleskatalogen.no/medisin/sykdom/mangel-veksthormon>
- (4) Helsebiblioteket (2019), Hentet 23.03.2021, fra <https://www.helsebiblioteket.no/pediatriveiledere?key=144404&menuitemkeylev1=5962&menuitemkeylev2=5964>
- (5) Ascendis Pharma A/S Submits Marketing Authorisation Application (MAA) to the European Medicines Agency (EMA) for TransCon™ hGH, Bloomberg [08.09.2021]. Tilgjengelig fra: <https://www.bloomberg.com/press-releases/2020-09-08/ascendis-pharma-a-s-submits-marketing-authorisation-application-maa-to-the-european-medicines-agency-ema-for-transcon-hgh>

## 5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
23.04.2021	Laget metodevarsel*
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret dokumentasjonsgrunnlag basert på nytt søk av DD.MM.ÅÅÅÅ
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret status for metoden

\*Et metodevarsel er en kort beskrivelse av en legemiddelindikasjon (metode) på et tidlig tidspunkt, og oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](http://Legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.