

La hormona de crecimiento semanal Ngenla® (somatrogón) de Pfizer y OPKO, recibe la autorización de comercialización en su indicación pediátrica en la Unión Europea

- Esta autorización permitirá a los niños y adolescentes a partir de 3 años con esta enfermedad rara, disponer de un tratamiento de inyección semanal, frente a la inyección diaria que mantenían hasta el momento.
- El déficit de la hormona de crecimiento afecta a uno de cada 4.000 a 10.000 niños en el mundo^{1 2}, provocando desde ralentización en el crecimiento a retraso en la pubertad o problemas de salud física y mental.

Madrid, 17 de febrero de 2022.- Pfizer y OPKO Health han anunciado que la Comisión Europea ha concedido la autorización de comercialización de la hormona de crecimiento humana recombinante de nueva generación Ngenla® (somatrogón), una inyección semanal para el tratamiento de las alteraciones del crecimiento debidas a la secreción insuficiente de la hormona del crecimiento en niños y adolescentes a partir de 3 años. Esta nueva opción terapéutica reduce la frecuencia de inyecciones necesarias para tratar esta enfermedad de una vez al día a una vez a la semana.

"La deficiencia de la hormona del crecimiento afecta considerablemente tanto a los niños y adolescentes que padecen esta enfermedad rara como a sus familias. Durante muchos años, las inyecciones diarias han sido el tratamiento estándar, lo que ha agravado los problemas a los que se enfrentan", explica Reda Guiha, presidente regional de Enfermedades Raras de Pfizer. "Con Ngenla®, estamos orgullosos de seguir avanzando en el cuidado de los niños en Europa afectados por la deficiencia de la hormona del crecimiento, con una nueva posibilidad de un tratamiento de acción prolongada que reduce significativamente la carga para los pacientes: pasando de inyecciones diarias a inyecciones semanales."

El déficit de la hormona del crecimiento es una enfermedad rara caracterizada por la secreción inadecuada de la hormona del crecimiento, la somatropina, desde la glándula pituitaria. Esta afecta a uno de cada 4.000 a 10.000 niños en todo el mundo^{1,2}. La enfermedad puede ser causada por mutaciones genéticas producidas durante la gestación o adquiridas tras el nacimiento^{1,3}. Sin tratamiento, los niños afectados por esta enfermedad presentan una ralentización del crecimiento de forma persistente y una estatura muy baja en la edad adulta. Asimismo, la llegada de la pubertad en estos pacientes puede retrasarse⁴. También, estos niños pueden experimentar otros problemas de salud física y bienestar mental derivados de esta enfermedad^{4 5}.

"Al minimizar la carga que supone el tratamiento de esta enfermedad, creemos que Ngenla® tiene el potencial de mejorar la calidad de vida de los niños afectados por el déficit

*de la hormona del crecimiento y de sus familias, así como aumentar la adherencia de estos al tratamiento, lo que puede mejorar los resultados", afirma el **Dr. Phillip Frost, presidente y director ejecutivo de OPKO Health.** "Nos complace que la autorización de la comercialización en la Unión Europea permita que más niños con esta enfermedad se beneficien de este tratamiento semanal".*

La autorización de comercialización de Ngenla® en la Unión Europea (UE) se basa en los resultados de un estudio global de fase 3, aleatorizado, abierto y controlado, que evaluó la seguridad y eficacia del tratamiento semanal Ngenla® (somatrogón) en comparación con el tratamiento diario Genotonorm® (somatropina)⁶. El estudio cumplió su criterio de valoración principal de no inferioridad de Ngenla® en comparación con Genotonorm® (somatropina), medido por la velocidad de altura anual a los 12 meses. Ngenla™ fue generalmente bien tolerado en el estudio y tuvo un perfil de seguridad comparable al de Genotonorm® (somatropina)⁶.

La autorización de la comercialización de Ngenla® es válida en todos los estados miembros de la Unión Europea, así como en Islandia, Noruega y Liechtenstein.

Acerca de los estudios sobre el tratamiento semanal de Ngenla® (somatrogón)

La seguridad y la eficacia de NGENLA® (somatrogón) quedaron demostradas en un estudio de fase 3 aleatorizado, abierto y controlado activamente, realizado en más de 20 países⁶. En este estudio, participaron 224 niños en la etapa prepuberal sin tratamiento contra deficiencia de la hormona del crecimiento (GHD, por sus siglas en inglés) que fueron aleatorizados para recibir Ngenla® (somatrogón) una vez a la semana o Genotonorm® (somatropina) una vez al día⁶. El estudio cumplió su criterio de valoración primario de no inferioridad de Ngenla® (somatrogón) en comparación con Genotonorm® (somatropina), medido por la velocidad anual de crecimiento a los 12 meses.⁶ Ngenla® (somatrogón) fue bien tolerado en el estudio y tuvo un perfil de seguridad comparable al de Genotonorm®.⁶ Los participantes tuvieron la oportunidad de inscribirse en un estudio global, abierto, multicéntrico, de extensión a largo plazo en el que pudieron continuar recibiendo este tratamiento o cambiar a Ngenla® (somatrogón) si habían estado recibiendo Genotonorm® (somatropina). Aproximadamente, el 95% de los pacientes escogieron adherirse a este estudio de extensión para recibir el tratamiento con Ngenla® (somatrogón)⁷.

Un estudio adicional de fase 3 (C0311002) evaluó la percepción que tenían del tratamiento de Ngenla® (somatrogón) una vez a la semana frente a Genotonorm® (somatropina) una vez al día entre niños de 3 a 18 años con déficit de la hormona del crecimiento, sus cuidadores y sus familiares⁸. Este estudio aleatorio, multicéntrico, abierto y cruzado incluyó a 87 participantes que estaban en tratamiento estable con hormona de crecimiento: 43 fueron asignados al azar al Brazo de 1 (12 semanas de tratamiento con Genotonorm® (somatropina) seguidas de 12 semanas de tratamiento con Ngenla® (somatrogón) y 44 fueron asignados al azar al Brazo 2 (12 semanas de tratamiento con Ngenla™ seguidas de 12 semanas de tratamiento con Genotonorm®)⁸. El estudio demostró que el tratamiento con Ngenla® (somatrogón) mejoró la puntuación total de interferencia en la calidad de vida después de 12 semanas de tratamiento con Ngenla® (somatrogón) en comparación con Genotonorm® (somatropina)⁸.

Acerca del tratamiento semanal de Ngenla® (somatrogón)

Ngenla™ (somatrogón) es una hormona de crecimiento sintética que actúa sustituyendo la falta de hormona de crecimiento en el organismo. Esta se administra mediante una inyección subcutánea. En comparación con la hormona del crecimiento Genotonorm® (somatropina), su acción en el organismo es prolongada, lo que permite realizar inyecciones semanales en lugar de diarias. Ngenla™ (somatrogón) está aprobada para el tratamiento de la deficiencia de la hormona del crecimiento (GHD) pediátrica en Canadá, Australia y Japón, y la autorización de comercialización de la Unión Europea es válida en todos los estados miembros, así como en Islandia, Noruega y Liechtenstein.

En 2014, Pfizer y OPKO firmaron un acuerdo mundial para el desarrollo y la comercialización de Ngenla™ (somatrogón). Según el acuerdo, OPKO es responsable de llevar a cabo el programa clínico y Pfizer es responsable de registrar y comercializar Ngenla™ (somatrogón) para el déficit de la hormona del crecimiento en niños y adolescentes.

Acerca de Genotonorm® (somatropina)

Genotonorm® (somatropina) es una hormona recombinante de crecimiento humana. Las indicaciones para las que Genotonorm® (somatropina) está aprobado varían según el país. Genotonorm® (somatropina) está aprobado para el retraso en el crecimiento debido a la deficiencia de la hormona del crecimiento (GHD) en niños y adolescentes, y también para esta misma patología en adultos; también para el síndrome de Prader-Willi, la baja estatura idiopática, el síndrome de Turner, la talla baja para la edad gestacional (sin crecimiento de recuperación) y la baja estatura asociada a la insuficiencia renal crónica. Genotonorm® (somatropina) se administra mediante una inyección subcutánea y está disponible en una amplia gama de dispositivos para adaptarse a las necesidades de dosificación individuales de los pacientes. Genotonorm® (somatropina) es igual que la hormona de crecimiento natural que produce el organismo y tiene un perfil de seguridad establecido.

Pfizer, innovaciones que cambian la vida de los pacientes®

Pfizer, como compañía biomédica que trabaja para mejorar la salud de las personas, se dedica al desarrollo de terapias y vacunas innovadoras para curar y prevenir enfermedades o aliviar sus síntomas. Con una trayectoria de más de 170 años, Pfizer mantiene su compromiso con la sociedad y apuesta por la I+D para dar respuesta a las necesidades médicas de hoy y del mañana. El avance de la ciencia y la tecnología, así como su aplicación médica, exige colaborar con todos los implicados para maximizar la cartera de medicamentos y que la innovación farmacéutica llegue a todas las personas que la necesitan de manera rápida, asequible, fiable y con transparencia, de acuerdo con los más altos estándares de calidad y seguridad. Para más información www.pfizer.es

Pfizer Comunicación

Ana Luzuriaga - 677 932 414

ana.luzuriaga@pfizer.com

Ogilvy

Irene Fernández - 689 54 44 93

irene.fernandez@ogilvy.com

María Pinilla – 699 14 09 18

maria.pinilla@ogilvy.com

Sonia Navarro – 659 81 59 64

sonia.navarro@ogilvy.com

¹ National Organization for Rare Disorders. Growth Hormone Deficiency. <https://rarediseases.org/rare-diseases/growth-hormone-deficiency/>. Consultado el 15 de febrero de 2022.

² Stanley T. Diagnosis of growth hormone deficiency in childhood. *Curr Opin Endocrinol Diabetes Obes.* 2012;19(1):47-52. doi:10.1097/MED.0b13e32834ec952.

³ Ergun-Longmire B, Wajnrajch M. Growth and growth disorders. Feingold KR, Anawalt B, Boyce A, et al., editors. *Endotext* [Internet]. South Dartmouth (MA): MDText.com, Inc.; 2000. Disponible en: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK279142/>

⁴ Brod, M, Højbjerg, L, Alolga, SL, Beck, JF, Wilkinson, L, Rasmussen, MH. Understanding treatment burden for children treated for growth hormone deficiency. *The Patient-Patient-Centered Outcomes Research.* 2017;10(5):653-666.

⁵ Toft D. Growth Hormone Deficiency Basics. *EndocrineWeb.* <https://www.endocrineweb.com/conditions/growth-disorders/growth-hormone-deficiency-basics>. Accessed January 25, 2022.

⁶ *ClinicalTrials.gov.* Patient Perception of Treatment Burden in Weekly Versus Daily Growth Hormone Injections in Children With GHD. Consultado el 15 de febrero de 2022.

⁷ Wajnrajch M. Switch Data From the Open-Label Extension of the Pivotal Phase 3 Study of Once Weekly Somatrogen Compared to Daily Somatropin in Pediatric Patients With Growth Hormone Deficiency (pGHD). *Journal of the Endocrine Society.* 2021;5(1):A686–A687.

⁸ *ClinicalTrials.gov.* Patient Perception of Treatment Burden in Weekly Versus Daily Growth Hormone Injections in Children With GHD. Consultado el 15 de febrero de 2022.