

Trabalhos Científicos

Título: Somapacitana Semanal Vs Hormônio Do Crescimento Diário Em Crianças Nascidas Pequenas Para A Idade Gestacional: Resultados De 1 Ano De Um Ensaio Clínico Fase 2 Randomizado.

Autores: ANDERS JUUL (COPENHAGEN UNIVERSITY HOSPITAL), ARTHUR LYRA (NOVO NORDISK A/S), PHILIPPE BACKELJAUW (CINCINNATI CHILDREN'S HOSPITAL MEDICAL CENTER), EKATERINE BAKHTADZE BAGCI (NOVO NORDISK A/S), MICHAEL HØJBY (NOVO NORDISK A/S), MASANOBU KAWAI (OSAKA WOMEN'S AND CHILDREN'S HOSPITAL), RASMUS JUUL KILDEMOES (NOVO NORDISK A/S), AGNÈS LINGLART (UNIVERSITÉ PARIS SACLAY), NEHAMA ZUCKERMAN-LEVIN (RAMBAM HEALTH CARE CENTER, BRUCE RAPPAPORT FACULTY OF MEDICINE), REIKO HORIKAWA (NATIONAL CENTER FOR CHILD HEALTH AND DEVELOPMENT)

Resumo: O tratamento da baixa estatura em crianças nascidas pequenas para a idade gestacional (PIG) requer injeções diárias de hormônio do crescimento (GH) que podem ser difíceis para pacientes e cuidadores. A somapacitana é um GH de longa duração em desenvolvimento em fase 3 para terapia de reposição em crianças com deficiência de GH (DGH). Apresentamos os resultados de 52 semanas do primeiro estudo de fase 2, randomizado, multinacional, aberto, controlado e de busca de dose (NCT03878446) investigando a eficácia e segurança da somapacitana como tratamento para baixa estatura em crianças nascidas PIG comparado ao GH diário (Norditropin®, Novo Nordisk A/S). 62 crianças pré-pubescentes virgens de tratamento com GH (35,5% do sexo feminino) receberam somapacitana 0,16, 0,20 ou 0,24 mg/kg/semana subcutâneo (SC) ou GH diário 0,035 ou 0,067 mg/kg/dia. Todas as crianças foram subsequentemente incluídas em um estudo de extensão de segurança a longo prazo. Na semana 52, a velocidade média de crescimento (VC) observada foi de 8,5, 10,3 e 10,6 cm/ano para 0,16 (n = 12), 0,20 (n = 13) e 0,24 mg/kg/semana (n = 12) de somapacitana, respectivamente, em comparação com 9,4 e 11,2 cm/ano para 0,035 (n = 11) e 0,067 mg/kg/dia (n = 13) de GH diário, respectivamente. Foram observados aumentos no IGF-I dose-dependentes com somapacitana e GH diário, e foram encontradas relações significativas de dose-resposta para a VC para somapacitana. Entre as doses de somapacitana investigadas, 0,24 mg/kg/semana proporcionou uma resposta de IGF-I mais semelhante à de 0,067 mg/kg/dia de GH diário. Todas as doses de somapacitana foram bem toleradas, não foram identificadas preocupações com a segurança. Os eventos adversos relatados foram leves a moderados, a maioria foi avaliada como improvável de estar relacionado ao tratamento. O perfil de tolerabilidade foi favorável e consistente com o do GH diário. Foram detectados anticorpos anti-hGH não neutralizantes e de baixo título em uma criança no braço com GH diário 0,067 mg/kg/dia, não sendo detectados em outros braços de tratamento. Um paciente tratado com somapacitana 0,20 mg/kg/semana desenvolveu diabetes mellitus tipo 1. Este evento foi avaliado como não relacionado ao tratamento. Não houve outro achado clinicamente relevante em relação ao metabolismo da glicose. Os dados sugerem que 0,24 mg/kg/semana de somapacitana parece ser a dose mais eficaz em crianças com baixa estatura nascidas PIG após 52 semanas de tratamento. Além disso, os perfis de segurança e tolerabilidade dessa dose são semelhantes aos de GH diário na dose 0,067 mg/kg/dia.