

Trabalhos Científicos

Título: Segurança E Eficácia A Longo Prazo De Somapacitana Em Crianças Com Baixa Estatura Nascidas Pequenas Para Idade Gestacional: Resultados De 4 Anos De Um Estudo Global De Fase 2

Autores: Introdução: O tratamento da baixa estatura em crianças nascidas pequenas para a idade gestacional (PIG) requer injeções diárias de hormônio do crescimento (GH). Somapacitana é um derivado de GH de ação prolongada, aprovado para o tratamento da deficiência de GH e atualmente em estudos de fase 3 para outras indicações pediátricas. Objetivos: Este estudo apresenta os resultados de longo prazo (208 semanas) do estudo global de fase 2 REAL5 (NCT03878446), avaliando a eficácia e segurança da somapacitana semanal em crianças PIG. Metodologia: No total, 62 crianças pré-púberes com baixa estatura, nascidas PIG e sem tratamento prévio com GH (35,5% do sexo feminino), foram randomizadas 1:1:1:1:1 para uma de três doses de somapacitana (0,16, 0,20 ou 0,24 mg/kg/semana) ou duas doses diárias de GH (0,035 ou 0,067 mg/kg/dia) por 52 semanas, todas administradas por via subcutânea. Os resultados publicados demonstraram segurança e eficácia semelhantes entre somapacitana 0,24 mg/kg/semana e GH diário 0,067 mg/kg/dia após 52 semanas. Sessenta crianças foram incluídas na extensão de segurança em andamento, durante a qual todas foram trocadas para somapacitana 0,24 mg/kg/semana. Resultados: Cinquenta e cinco crianças completaram 208 semanas de tratamento nos cinco grupos: 0,168594, 0,24 mg/kg/semana somapacitana (n=12/12), 0,208594, 0,24 mg/kg/semana somapacitana (n=12/13), 0,248594, 0,24 mg/kg/semana somapacitana (n=12/12), 0,035 mg/kg/dia8594, somapacitana 0,24 mg/kg/semana (n=8/12) e 0,067 mg/kg/dia8594, somapacitana 0,24 mg/kg/semana (n=11/13). Em todos os grupos de tratamento, a velocidade de crescimento permaneceu acima do nível basal, e aumentos contínuos no escore de desvio padrão de altura (SDS) foram observados até a semana 208. O perfil de segurança e tolerabilidade da somapacitana 0,24 mg/kg/semana foi semelhante ao do GH diário. Os eventos adversos relatados foram, em sua maioria, leves ou moderados (a maioria com improvável relação ao produto do estudo). Uma reação no local da injeção foi relatada após a troca (dor, leve, improvável relação). Nenhum anticorpo neutralizante contra o medicamento foi detectado. Exceto por um participante que descontinuou o tratamento na semana 52 (diabetes tipo 1, não relacionado), não foram identificadas alterações clinicamente relevantes no metabolismo da glicose durante o período de estudo de 208 semanas. Dos 24 pacientes que trocaram do GH diário para somapacitana, 23 completaram o questionário de preferência: 20/23 (87%) preferiram somapacitana, 2/23 (8,7%) não tinham preferência e 1/23 (4,3%) preferiu GH diário. 16/20 (80%) responderam que provavelmente seriam mais aderentes ao regime de tratamento semanal com somapacitana em comparação com as injeções diárias de GH, 4/20 (20%) afirmaram não haver diferença. Conclusão: Em conclusão, esses dados apoiam a eficácia, segurança e tolerabilidade de longo prazo da somapacitana semanal em crianças com baixa estatura nascidas PIG, com até 4 anos de tratamento. Foi observada uma clara preferência pela somapacitana semanal.

Resumo: ANDERS JUUL (UNIVERSITY OF COPENHAGEN), MICHAEL HØJBY (NOVO NORDISK A/S), MASANOBU KAWAI (OSAKA WOMEN'S AND CHILDREN'S HOSPITAL), AGNÈS LINGLART (HÔPITAL BICÊTRE PARIS SACLAY), MARIANA WERNECK COSTA (NOVO NORDISK), JUN MORI (CHILDREN'S MEDICAL CENTER), NEHAMAH ZUCKERMAN-LEVIN (OSAKA CITY GENERAL HOSPITAL), PHILIPPE BACKELJAUW (RAMBAM HEALTH CARE CENTER)