



SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA

SIF Pharma News

Sogroya

Estensione di indicazione nel trattamento del disturbo della crescita in bambini di bassa statura nati piccoli per l'età gestazionale e nella sindrome di Noonan

Autore: Lanfranco Pellesi

Revisore: Jacopo Angelini

Giugno 2026

Il 21 maggio 2026, il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha adottato un parere positivo raccomandando l'estensione dell'indicazione di Sogroya (somapacitan) al trattamento del disturbo della crescita in bambini di bassa statura nati piccoli per l'età gestazionale (*small for gestational age*, SGA) che non abbiano mostrato un recupero di crescita entro i 4 anni di età o successivamente, e al trattamento della bassa statura associata alla sindrome di Noonan (*Noonan syndrome*, NS). Nell'Unione Europea Sogroya era già autorizzato per il trattamento del deficit di ormone della crescita nei bambini a partire dai 3 anni di età e negli adulti.

Descrizione del farmaco e meccanismo d'azione

Sogroya è il nome commerciale del somapacitan, un analogo dell'ormone della crescita umano (*growth hormone*, GH) a lunga durata d'azione, prodotto mediante tecniche di DNA ricombinante. La molecola deriva dal GH umano con una modifica strutturale che introduce un sostituito che si lega in modo reversibile all'albumina endogena. Questo prolunga l'emivita del farmaco, conferendogli un profilo farmacocinetico compatibile con la somministrazione una volta a settimana, in alternativa alle iniezioni giornaliere richieste dai prodotti a base di GH tradizionale (somatropina).

Il meccanismo d'azione è sovrapponibile a quello del GH endogeno. Il somapacitan si lega ai recettori del GH presenti in numerosi tessuti, attivando le vie di segnalazione per la crescita dell'osso, la sintesi proteica e la modulazione del metabolismo di lipidi e carboidrati, soprattutto mediante l'incremento della produzione del fattore di crescita insulino-simile di tipo 1 (IGF-1). Il farmaco è somministrato per via sottocutanea tramite penna preriempita, con rotazione settimanale dei siti di iniezione (addome, cosce, glutei o braccia).

Sogroya ha prima ottenuto l'autorizzazione nell'Unione Europea nel 2021 per il trattamento del deficit di GH nell'adulto; l'indicazione è stata poi estesa a pazienti con deficit di GH a partire dai 3 anni di età. Le nuove indicazioni ampliano l'impiego del farmaco a condizioni pediatriche non associate a deficit di GH.

Descrizione della patologia e delle alternative disponibili

I bambini nati piccoli per l'età gestazionale (*small for gestational age*, SGA) presentano alla nascita un peso e/o una lunghezza significativamente inferiori rispetto all'atteso. La maggior parte di loro va incontro a un recupero spontaneo della crescita entro i primi due anni di vita. Tuttavia, circa il 10-15% non recupera e mantiene una bassa statura che tende a persistere fino all'età adulta. In questi pazienti è possibile un rischio aumentato di alterazioni metaboliche e difficoltà dello sviluppo. La sindrome di Noonan (*Noonan syndrome*, NS) è una malattia genetica con un'incidenza di circa 1 caso ogni 1.000-2.500 nati vivi, a trasmissione autosomica dominante e causata da mutazioni a carico di geni della via di segnalazione RAS-MAPK. È caratterizzata da una combinazione variabile di tratti dismorfici facciali, cardiopatie congenite e bassa statura. La bassa statura associata alla sindrome di Noonan è dovuta a meccanismi complessi, tra cui una parziale resistenza all'azione dell'ormone della crescita.

Lo standard di cura del disturbo della crescita nei bambini SGA e affetti da NS si basa su iniezioni sottocutanee giornaliere di ormone della crescita ricombinante (somatropina). Pur efficace, questo regime comporta per il bambino e per chi se ne prende cura un elevato numero di iniezioni annue che può compromettere l'aderenza al trattamento e gli esiti di crescita. La disponibilità di un analogo a lunga durata d'azione somministrabile una volta a settimana risponde quindi all'esigenza di ridurre la frequenza delle iniezioni mantenendo un'efficacia comparabile.

Dati di efficacia e sicurezza nell'indicazione oggetto della nuova indicazione

L'estensione delle indicazioni di Sogroya è supportata dai risultati dello studio REAL8 (NCT05330325), *basket trial* di fase III internazionale, multicentrico, randomizzato, in aperto, con comparatore attivo, che ha valutato in modo separato quattro condizioni pediatriche non associate a deficit di GH (bambini nati SGA, NS, sindrome di Turner e bassa statura idiopatica). Lo studio ha arruolato bambini prepuberi mai trattati in precedenza con GH, randomizzati a ricevere somapacitan 0,24 mg/kg/settimana oppure GH giornaliero, con l'obiettivo primario di valutare la velocità di crescita annualizzata a 52 settimane.

Nel sottostudio relativo ai bambini nati SGA sono stati randomizzati 142 bambini mai trattati, in rapporto 2:1:1, a somapacitan 0,24 mg/kg/settimana oppure a GH giornaliero a basse dosi (0,035 mg/kg/die) o ad alte dosi (0,067 mg/kg/die). Il somapacitan ha dimostrato una velocità di crescita non inferiore rispetto alla dose più elevata di GH giornaliero (11,0 contro 11,1 cm/anno) e superiore rispetto alla dose più bassa (11,0 contro 9,4 cm/anno). Nel sottostudio relativo alla NS sono stati arruolati 77 bambini mai trattati, randomizzati a somapacitan 0,24 mg/kg/settimana oppure a GH giornaliero (0,050 mg/kg/die). Il somapacitan ha dimostrato superiorità sulla velocità di crescita annualizzata, con un valore medio stimato di 10,4 cm/anno contro 9,2 cm/anno per la terapia giornaliera. In entrambi i sottostudi la risposta dell'IGF-1 nei pazienti trattati con somapacitan è risultata sovrapponibile a quella osservata con il GH giornaliero.

Il profilo di sicurezza del somapacitan non differisce da quello noto della somatropina giornaliera. Tra le reazioni avverse più frequenti riportate nelle nuove indicazioni, la maggior parte di intensità lieve o moderata, si segnalano infezioni delle vie respiratorie, otite e diarrea. La formazione di anticorpi anti-farmaco è risultata non comune e non ha mostrato un impatto rilevante su farmacocinetica, efficacia o sicurezza. La sicurezza e l'efficacia a lungo termine saranno valutate nel periodo di estensione dello studio.

Bibliografia

- [European Medicines Agency. Sogroya - opinion on variation to marketing authorisation](#)
- [European Medicines Agency. Meeting highlights from the Committee for Medicinal Products for Human Use \(CHMP\) 18-21 May 2026](#)
- [A Trial Looking at How Safe and Well-tolerated Somapacitan is and How it Works in Children Who Need Help to Grow \(REAL8\) \(NCT05330325\)](#)
- Dahlgren J, Backeljauw P, Dunkel L, et al. Somapacitan in children born small for gestational age: a randomized controlled phase 3 trial (REAL8). *Eur J Endocrinol.* 2026;194(3):311–325
- Abuzzahab J, Dauber A, Rasmussen MH, et al. Once-weekly somapacitan in children with Noonan syndrome: randomized controlled phase 3 trial (REAL8). *Eur J Endocrinol.* 2026;194(3):393–406