SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA

SIF Pharma News

Sogroya

Estensione di indicazione nel trattamento della bassa statura idiopatica

Autore: Lanfranco Pellesi
Revisore: Chiara Pavanello

Ottobre 2026

Il 17 settembre 2026, a seguito del riesame del precedente parere adottato nel maggio 2026, il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha espresso parere positivo sull'estensione dell'indicazione di Sogroya (somapacitan) al trattamento della bassa statura idiopatica (*idiopathic short stature*, ISS) con disturbo persistente della crescita.

Descrizione del farmaco e meccanismo d'azione

Sogroya (somapacitan) è 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 consente il legame reversibile con l'albumina endogena, prolungandone l'emivita e rendendo possibile la somministrazione una volta a settimana, in alternativa alla somministrazione giornaliera richiesta dalle formulazioni tradizionali di GH (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 coinvolte nella crescita ossea, nella sintesi proteica e nella regolazione del metabolismo lipidico e glucidico, 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 del sito di iniezione tra addome, cosce, glutei e parte superiore delle braccia.

Sogroya ha ottenuto la prima autorizzazione nell'Unione Europea nel 2021 per il trattamento sostitutivo del deficit di GH nell'adulto. Nel 2023 l'indicazione è stata poi estesa ai bambini a partire dai 3 anni di età e agli adolescenti con disturbo della crescita dovuto a deficit di GH. Nel 2026 il CHMP aveva già espresso parere positivo per condizioni pediatriche associate a disturbo della crescita non dovuto a deficit di GH, comprendenti i bambini nati piccoli per età gestazionale (*small for gestational age*, SGA) e la sindrome di Noonan (*Noonan syndrome*, NS).

Descrizione della patologia e delle alternative disponibili

La bassa statura idiopatica (*idiopathic short stature*, ISS) è una diagnosi di esclusione che identifica bambini con statura significativamente inferiore alla media per età, sesso e popolazione di riferimento, in assenza di deficit di GH o di altre cause sistemiche, endocrine, nutrizionali o genetiche identificabili. Si stima che l'ISS interessi fino al 3% dei bambini a livello mondiale ed è una condizione spesso sottodiagnosticata, per la quale le opzioni terapeutiche approvate sono finora risultate limitate.

Il trattamento del disturbo della crescita in queste condizioni si basa prevalentemente sull'impiego di GH ricombinante (somatropina), generalmente somministrato mediante iniezioni sottocutanee giornaliere, sebbene le indicazioni autorizzate differiscano tra le diverse condizioni e tra i singoli medicinali. 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 il carico terapeutico mantenendo un'efficacia comparabile sulla crescita.

Dati di efficacia e sicurezza a supporto 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 separatamente quattro condizioni pediatriche non associate a deficit di GH: SGA, NS, sindrome di Turner e ISS. Lo studio ha incluso bambini prepuberi mai trattati in precedenza con GH, randomizzati a ricevere somapacitan 0,24 mg/kg/settimana oppure GH

giornaliero. L'*endpoint* primario era la velocità di crescita annualizzata (*height velocity*, HV) a 52 settimane.
Nel sottostudio ISS, presentato di recente a supporto della nuova estensione, sono stati arruolati 88 bambini, randomizzati in rapporto 2:1 a somapacitan 0,24 mg/kg/settimana (n = 60) oppure a GH giornaliero 0,050 mg/kg/die (n = 28). A 52 settimane, la HV osservata è stata di 10,2 cm/anno con somapacitan e di 10,6 cm/anno con GH giornaliero; la differenza stimata tra i due trattamenti è risultata pari a -0,3 cm/anno (IC 95%: da -1,00 a 0,42), confermando la non inferiorità del somapacitan. Le variazioni dei punteggi standardizzati di statura e dei livelli di IGF-1 sono risultate complessivamente comparabili tra i due gruppi.
Le analisi per sottogruppo di età e sesso non hanno mostrato differenze rilevanti rispetto alla popolazione complessiva, e anche le variazioni dei punteggi standardizzati di statura e i livelli di IGF-1 sono risultate sovrapponibili tra i due bracci. In tutti 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 del GH giornaliero. Nel sottostudio ISS, eventi avversi sono stati riportati nel 79,7% dei partecipanti trattati con somapacitan e nel 78,6% di quelli trattati con GH giornaliero; la maggior parte era di intensità lieve o moderata e non correlata al farmaco in studio. Tra le reazioni avverse più frequenti riportate nelle nuove indicazioni figurano infezioni delle vie respiratorie, otite e disturbi gastrointestinali. La formazione di anticorpi anti-farmaco è risultata non comune e non ha mostrato un impatto rilevante su farmacocinetica, efficacia o sicurezza.
Tra i principali limiti delle evidenze disponibili vi sono il disegno in aperto degli studi e, per il sottostudio ISS, la ridotta numerosità del braccio di confronto attivo. Il CHMP ha comunque ritenuto favorevole il rapporto beneficio/rischio nelle indicazioni valutate, sottolineando come Sogroya rappresenterebbe, in caso di autorizzazione, la prima e unica terapia a base di ormone della crescita approvata nell'Unione Europea specificamente per l'ISS. La sicurezza e l'efficacia a lungo termine saranno ulteriormente valutate nel periodo di estensione dello studio REAL8, della durata di 104 settimane.

Bibliografia

- Novo Nordisk A/S. Novo's once-weekly Sogroya® (somapacitan) receives positive CHMP opinion in Europe for children with idiopathic short stature (unexplained shortness). Comunicato stampa, 18 settembre 2026.
- European Medicines Agency. Meeting highlights from the Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) 14-17 September 2026.
- European Medicines Agency. Sogroya - opinion on variation to marketing authorisation.
- 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, 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, et al. Once-weekly somapacitan in children with Noonan syndrome: randomized controlled phase 3 trial (REAL8). *Eur J Endocrinol*. 2026;194(3):393-406.
- Somapacitan in children with idiopathic short stature: a randomized controlled phase 3 study. *Eur J Endocrinol*. 2026;194(2):242-253.