

# Niskorostłość i niedobór hormonu wzrostu – problem dzieci i osób dorosłych

---

## PYTANIA I ODPOWIEDZI

V 1.0 (07 lipca 2021)

**SANDOZ**



**Omnitrope**<sup>®</sup>  
Somatropin

# Agenda – pytania

---

**Pytanie 1:** Jak i kiedy prawidłowo mierzyć wzrost dziecka?

**Pytanie 2:** Jakie są kryteria rozpoznania niskorosłości?

**Pytanie 3:** Czy SGA zawsze prowadzi do niskorosłości?

**Pytanie 4:** Jakie mogą być przyczyny niskiego wzrostu u dzieci?

**Pytanie 5:** Jakie badania należy wykonać u pacjenta z niskorosłością w gabinecie lekarza POZ?

**Pytanie 6:** Jakie są wskazania do leczenia hormonem wzrostu?

**Pytanie 7:** Czy niedobór hormonu wzrostu w wieku dorosłym jest jednoznaczny z somatopauzą?

**Pytanie 8:** Jakie są najczęstsze przyczyny ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u osób dorosłych?

**Pytanie 9:** Jakie mogą być objawy i konsekwencje ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u osób dorosłych?

**Pytanie 10:** Czy dawki rekombinowanego ludzkiego hormonu wzrostu są takie same u osób dorosłych i dzieci?

**Pytanie 11:** Jakie są cele leczenia hormonem wzrostu u osób dorosłych i dzieci z różnymi wskazaniami?

**Pytanie 12:** Jakie badania trzeba wykonać i kiedy, aby zakwalifikować pacjenta dorosłego do leczenia hormonem wzrostu?

# Pytanie 1. Jak i kiedy prawidłowo mierzyć wzrost dziecka?

**Niemowlęta** – pomiar długości ciała za pomocą centymetra lub taśmy (deski pomiarowej)

**Starsze dzieci** – pomiar wysokości ciała za pomocą wzrostomierza lub stadiometru

🔥 Dziecko ułożone w pozycji na plecach – pomiar odległości między szczytem głowy a stopą

🔥 Pozycja swobodna wyprostowana, głowa w pozycji frankfurckiej

|                            | Wiek niemowlęcy – 6 badań   | Wiek: 2 lata   | Wiek: 4 lata                        | Wiek: 5 lat lub klasa „0”           | Klasa III szkoły podstawowej        | Klasa VII szkoły podstawowej        | I klasa szkoły ponadpodstawowej     | IV klasa szkoły ponadpodstawowej    |
|----------------------------|---|--|-------------------------------------|-------------------------------------|-------------------------------------|-------------------------------------|-------------------------------------|-------------------------------------|
| Badanie rozwoju fizycznego | Pomiar długości, masy ciała i obwodu głowy (6.–9. t.ż., 3.–4. m.ż., 6. m.ż., 9. m.ż., 12. m.ż.) | Pomiar wysokości i masy ciała (BMI), pomiar obwodu głowy | Pomiar wysokości i masy ciała (BMI) | Pomiar wysokości i masy ciała (BMI) | Pomiar wysokości i masy ciała (BMI) | Pomiar wysokości i masy ciała (BMI) | Pomiar wysokości i masy ciała (BMI) | Pomiar wysokości i masy ciała (BMI) |

t.ż. – tydzień życia, m.ż. – miesiąc życia

# Pytanie 1. Jak i kiedy prawidłowo mierzyć wzrost dziecka?

---

- 🔥 Zdjąć buty
- 🔥 Ustawić dziecko w pozycji swobodnie wyprostowanej, tyłem do ściany/wysokościomierza
- 🔥 Kończyny górne powinny swobodnie zwisać wzdłuż ciała, dłonie powinny być zwrócone do ud
- 🔥 Kończyny dolne powinny być złączone, wyprostowane w kolanach, a stopy złączone piętami
- 🔥 Tylne części głowy, barki, pośladki i pięty powinny dotykać ściany
- 🔥 Głowa powinna być w pozycji frankfurckiej (pozycji oczno-usznej – co oznacza, że górne krawędzie otworów słuchowych zewnętrznych i dolne krawędzie oczodołów powinny znajdować się na tym samym poziomie; dziecko powinno patrzeć na punkt na wysokości swoich oczu)

**Badanie wykonujemy dwukrotnie i wyliczamy średnią arytmetyczną**

## Pytanie 2. Jakie są kryteria rozpoznania niskorosłości?

**Niskorosłość = wzrost dziecka na siatce centylowej\* <3. centyla\*\***

- 🔥 Na podstawie systemu centylowego, który w Polsce stosowany jest częściej, można wyodrębnić większą grupę dzieci z niskorosłością (bo 3. centyl odpowiada  $-1,88$  SD, a nie  $-2$  SD)
- 🔥 W programie lekowym leczenia rhGH u dzieci z somatotropinową niedoczynnością przysadki używa się systemu centylowego

**Przy kwalifikacji do leczenia rhGH ważne jest, aby podczas kolejnych pomiarów konsekwentnie korzystać z tej samej siatki centylowej**

\* Siatki centylowe trzeba dobrać do danej populacji, uwzględniając wiek i płeć pacjenta:

- siatki Palczewskiej i Niedźwieckiej dla dzieci warszawskich (dla polskiej populacji): [http://i.wp.pl/a/i/szkola2/pdf/siatki\\_centylowe.pdf](http://i.wp.pl/a/i/szkola2/pdf/siatki_centylowe.pdf)
- siatki WHO w modyfikacji Palczewskiej (dla dzieci do ukończenia 5. roku życia): [https://imid.med.pl/images/do-pobrania/Siatki\\_0-5\\_lat\\_WHO.pdf](https://imid.med.pl/images/do-pobrania/Siatki_0-5_lat_WHO.pdf)
- siatki WHO: <https://www.who.int/tools/child-growth-standards/standards/length-height-for-age>
- Siatki centylowe według badań OLA lub OLAF (dla dzieci od 3. do 18. roku życia)

\*\* W innym systemie niskorosłość stwierdza się, gdy wysokość ciała dziecka znajduje się poniżej  $-2$  SD względem średniej dla danej populacji, płci i wieku.

SD – odchylenie standardowe,  
rhGH – ludzki rekombinowany hormon wzrostu

**S A N D O Z**

Oblacińska A: Badania profilaktyczne i bilanse zdrowia dzieci i młodzieży. *Pediatrica I*, PZWL 2020, 136–142.  
Kalina-Faska B. i in.: Niskorosłość – rozpoznawanie i postępowanie, *Medycyna Praktyczna. Pediatrica*, ISSN 1507-2134, 2017, 2, 79–85.  
Oblacińska A., Jodkowska M., Sawiec P: ABC bilansów zdrowia dziecka. *Podręcznik dla lekarzy. Medycyna Praktyczna*, Kraków 2017.

**Omnitrope**<sup>®</sup>  
Somatropin

# Pytanie 3. Czy SGA zawsze prowadzi do niskorosłości?

**SGA (ang. *small for gestational age*)** – dzieci urodzone zbyt małe w stosunku do wieku ciążowego  
= oznacza masę lub długość ciała noworodka poniżej  $-2$  SD w odniesieniu do płci dziecka i wieku ciążowego (według ESPE)

🔥 Około 80% dzieci urodzonych z SGA nadrabia niedobór wzrostu do ukończenia 4. roku życia.

🔥 Niskorosłość dotyczy około 10–15% dzieci urodzonych z SGA (dzieci, które nie nadrobiły niedoboru wzrostu do ukończenia 4. roku życia)  
**Te dzieci mogą być kwalifikowane do leczenia rhGH w ramach programu lekowego (B.64)!**

## Cele leczenia rhGH dzieci niskorosłych z SGA:

🔥 Przyspieszenie tempa wzrastania

🔥 Zwiększenie ostatecznego wzrostu w wieku dorosłym – zysk wzrostowy wynosi średnio 9-12 cm

🔥 Korzystne działanie metaboliczne

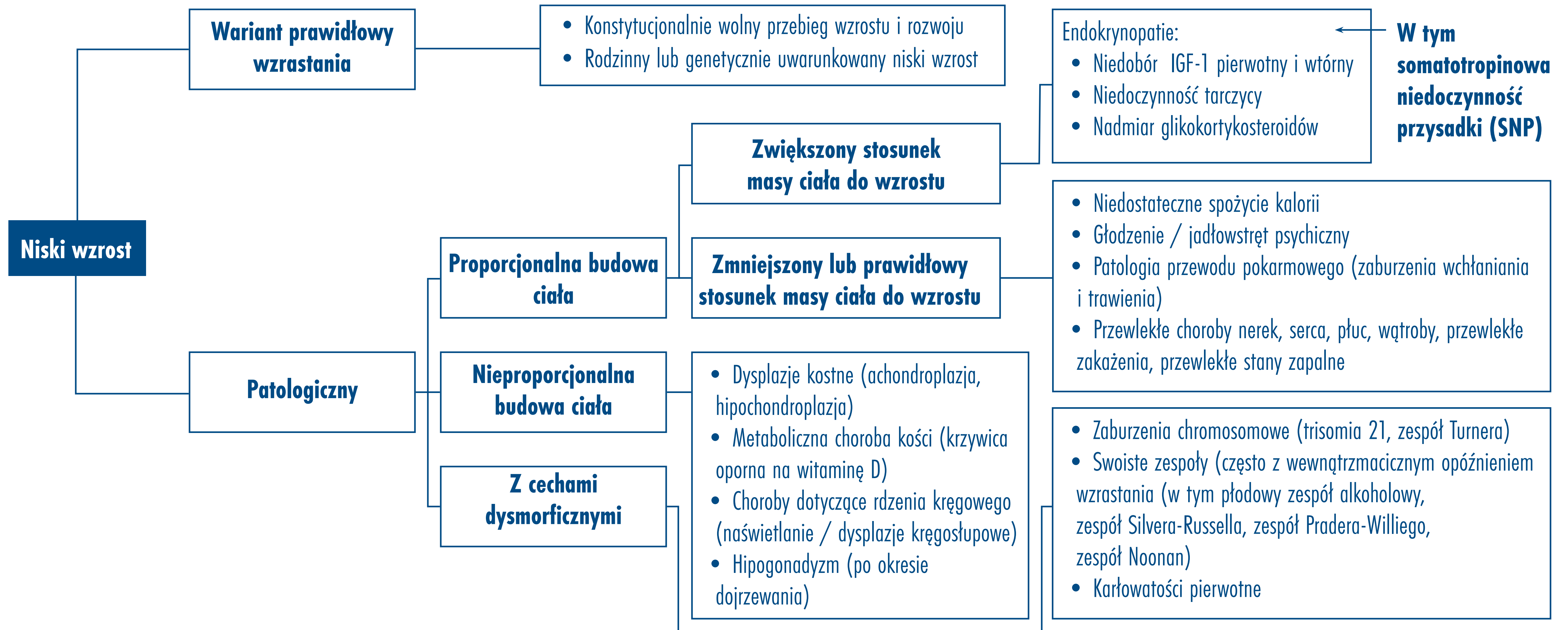
ESPE – Europejskie Towarzystwo Endokrynologii Dziecięcej

# Pytanie 3. Czy SGA zawsze prowadzi do niskorostości?

## SGA nie jest synonimem IUGR ani wcześniactwa

| SGA  | IUGR  | Wcześnieactwo   |
|--|---|---|
| ang. <i>small for gestational age</i><br>dziecko urodzone zbyt małe w stosunku do wieku ciążowego  | ang. <i>intrauterine growth restriction</i> ,<br>wewnątrzmaciczne zahamowanie wzrostu, hipotrofia<br>wewnątrzmaciczna                     | —   |
| <b>SGA</b> oznacza masę lub długość ciała noworodka poniżej<br>−2 SD w odniesieniu do płci dziecka i wieku ciążowego<br>(według ESPE)<br>Wśród dzieci urodzonych z SGA są także dzieci <b>zdrowe</b> –<br>„konstytucjonalnie małe” | <b>IUGR</b> oznacza masę i/lub długość ciała mniejszą od<br>oczekiwanej (<10 centyla)<br><br><b>IUGR jest zawsze stanem patologicznym</b> | Wcześnieak może urodzić się:<br><b>z SGA</b> lub<br><b>bez SGA</b> (jest to dziecko małe, ale nie zbyt małe<br>w stosunku do wieku ciążowego) |

# Pytanie 4. Jakie mogą być przyczyny niskiego wzrostu u dzieci?





# Pytanie 4. Jakie mogą być przyczyny niskiego wzrostu u dzieci?

## Dwa warianty prawidłowego wzrastania:

### Konstytucjonalne opóźnienie wzrastania i dojrzewania (około 30% przypadków niskorostłości)

- 🔥 Częściej dotyczy chłopców
- 🔥 Co najmniej jedno z rodziców dojrzewało i przyspieszyło wzrastanie później niż rówieśnicy
- 🔥 Przebieg wzrastania jest wydłużony i przebiega wolniej
- 🔥 Wiek kostny może być opóźniony
- 🔥 Krzywa wzrastania przebiega równoległe do 3. centyla
- 🔥 Wzrost ostateczny nie odbiega od szerokiej normy i jest zgodny z potencjałem wzrostowym

### Rodzinny niski wzrost (około 40% przypadków niskorostłości)

- 🔥 Częściej dotyczy dziewczynek
- 🔥 Niski wzrost jest odziedziczony po rodzicach – niski średni wzrost rodziców, niskie wzrosty w rodzinie
- 🔥 Wiek kostny raczej prawidłowy
- 🔥 Wymaga diagnostyki różnicowej z innymi przyczynami niskorostłości (rozpoznanie z wykluczenia)

# Pytanie 5. Jakie badania należy wykonać u pacjenta z niskorostością w gabinecie lekarza rodzinnego?

| Kolejne kroki | Działania  |
|---------------|--|
| 1.            | Ocena długości/wzrostu dziecka na siatce centylowej (w odniesieniu do wieku i płci)        |
| 2.            | Określenie wzrostu docelowego (TH)* oraz ustalenie dotychczasowego tempa wzrastania (HV)** |



\* **Wzrost docelowy** (TH) oznacza wzrost, jaki powinno uzyskać dziecko ostatecznie. Oblicza się go wg wzoru: dla chłopca TH = [(wzrost matki + wzrost ojca)/2] + 6,5 cm; dla dziewczynki TH = [(wzrost matki + wzrost ojca)/2] - 6,5 cm. Uzyskaną wartość nanosi się na siatkę centylową dla danej płci dla wieku 18 lat.

\*\* **Tempo wzrastania** (HV) zmienia się wraz z wiekiem dziecka. W uproszczeniu można przyjąć za prawidłowe: w 1. roku życia 25 cm/rok, w 2. roku życia 12-13 cm/rok, w 3. roku życia 8 cm/rok, w 4. i 5. roku życia 6-7 cm/rok, od 6. roku życia do okresu dojrzewania 5-6 cm/rok, w okresie dojrzewania: dziewczynki 7-9 cm/rok, chłopcy 8-11 cm/rok.

**Do dalszych działań kwalifikują się dzieci, których:** 📉 Wzrost pozostaje poniżej 3. centyla 📉 i/lub wzrost na siatce centylowej jest o ponad 2 kanały niższy niż docelowy 📉 i/lub tempo wzrastania jest zbyt wolne

| Kolejne kroki | Działania   |
|---------------|---|
| 3.            | Wywiad pod kątem guza mózgu (nudności, bóle głowy, zaburzenia widzenia)<br>* Jeśli TAK – <b>Pilnie badanie obrazowe</b> (MR przysadki), konsultacja <b>okulisty i/lub neurologa</b>   |
| 4.            | Wywiad pod kątem SGA (dziecko urodzone zbyt małe w stosunku do wieku ciążowego i płci)<br>* Dziecko, które nie osiągnęło odpowiedniego wzrostu do 4. roku życia, może zostać zakwalifikowane do leczenia rhGH (przez <b>endokrynologa</b> ) |



# Pytanie 5. Jakie badania należy wykonać u pacjenta z niskorosłością w gabinecie lekarza rodzinnego?

| Kolejne kroki | Działania   |
|---------------|---|
| 5.            | Ocena występowania cech dysmorfii (np. zespół Turnera, zespół Noonan, trisomia 21, zespół Pradera-Williego) i/lub zaburzeń proporcji ciała (achondroplazja, hipochondroplazja)<br>* Jeśli TAKIE występują – skierowanie do <b>genetyka</b>  |
| 6.            | Ocena masy ciała w stosunku do wieku wzrostowego (HA) <ul style="list-style-type: none"><li>• W przypadku niedożywienia – skierowanie do <b>gastroenterologa</b> (diagnostyka w kierunku zaburzeń trawienia, wchłaniania) i do innych specjalistów (<b>przewlekłe choroby układu oddechowego, serca, nerek wątroby</b>)</li><li>• W przypadku nadwagi/otyłości – w razie <b>podejrzenia zespołu Cushinga</b> w warunkach POZ możliwe jest wykonanie krótkiego testu z deksametazonem. W przypadku uzyskania wyniku dodatniego – <b>pilne skierowanie do endokrynologa (w warunkach szpitalnych)</b></li></ul> |
| 7.            | Badanie hormonów tarczycy: TSH i fT4<br>* Gdy niedoczynność – skierowanie do endokrynologa (poradnia)   |
| 8.            | Ocena wieku kostnego <ul style="list-style-type: none"><li>• u dziecka z wolnym tempem wzrastania w większości przypadków wiek kostny będzie opóźniony</li><li>• u dziecka z prawidłowym tempem wzrastania – opóźniony wiek kostny (<math>\geq 2</math> lata w stosunku do wieku kalendarzowego) w przypadku podejrzenia konstytucjonalnego opóźnienia wzrastania i dojrzewania; wiek kostny zgodny z wiekiem kalendarzowym w przypadku podejrzenia rodzinnego niedoboru wzrostu</li></ul>  |

# Pytanie 5. Jakie badania należy wykonać u pacjenta z niskorostością w gabinecie lekarza rodzinnego?

---

Dziecko z niskorostością (<3 centyla dla wieku i płci) oraz wolnym tempem wzrastania (pogarszająca się pozycja na siatkach centylowych) – **należy skierować w trybie planowym na oddział endokrynologii dziecięcej w celu przeprowadzenia badań diagnostycznych w kierunku: niedoboru hormonu wzrostu (wtórny niedobór IGF-1) i pierwotnego niedoboru IGF-1.**

- 🔥 po wykluczeniu niedoczynności tarczycy,
- 🔥 gdy nie ma podejrzenia nowotworu w OUN,
- 🔥 gdy nie ma cech dysmorfii

Większość dzieci zarówno z pierwotnym, jak i wtórnym niedoborem hormonu wzrostu ma obniżone stężenie IGF-1 (<-1 SD).

- 🔥 Badanie stężenia IGF-1 jest rzadko wykonywane standardowo ze względu na wysoki koszt i brak siatek centylowych do interpretacji wyniku.

**Niedobór hormonu wzrostu można rozpoznać w każdym wieku, w tym u niemowląt.**

# Pytanie 6. Jakie są wskazania do leczenia hormonem wzrostu?

## Niemowlęta, dzieci i młodzież

- 🔥 Zaburzenia wzrostu wynikające z niedostatecznego wydzielania hormonu wzrostu (niedobór hormonu wzrostu – ang. *growth hormone deficiency, GHD*)
- 🔥 Zaburzenia wzrostu związane z zespołem Turnera
- 🔥 Zaburzenia wzrostu związane z przewlekłą niewydolnością nerek
- 🔥 Zaburzenia wzrostu u niskich dzieci i młodzieży za małych w momencie narodzin w stosunku do wieku ciążowego (ang. *small for gestational age, SGA*), które nie uzupełniły niedoboru wzrostu przez 4 lata życia
- 🔥 Zespół Prader-Willi – w celu poprawy wzrostu i budowy ciała

## Dorośli

- Terapia zastępcza u dorosłych z ciężkim niedoborem hormonu wzrostu
- 🔥 o początku w wieku dziecięcym
  - 🔥 o początku w wieku dorosłym

**Obecnie leczenie hormonem wzrostu jest refundowane we wszystkich wskazaniach rejestracyjnych**

# Pytanie 7. Czy niedobór hormonu wzrostu w wieku dorosłym jest jednoznaczny z somatopauzą?

**Somatopauza** to fizjologiczne zmniejszenie wydzielania hormonu wzrostu związane z wiekiem. Somatopauza nie jest wskazaniem do leczenia substytucyjnego

Wskazaniem do leczenia rhGH u osoby dorosłej jest rozpoznanie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu, które opiera się na stwierdzeniu **objawów klinicznych niedoboru** i zmniejszonego wydzielania **GH w testach stymulacyjnych <3 ng/ml (ug/l)**

## Testy stymulacyjne:

- 🔥 W izolowanej GHD – dwa różne testy stymulacyjne
- 🔥 W wielohormonalnej niedoczynności przysadki można wykonać jeden test stymulacyjny

**Test z zastosowaniem insuliny** – testem z wyboru u osób dorosłych

# Pytanie 7. Czy niedobór hormonu wzrostu w wieku dorosłym jest jednoznaczny z somatopauzą?

---

## Grupy pacjentów wymagających przeprowadzenia diagnostyki w kierunku niedoboru hormonu wzrostu







1. Pacjenci z udokumentowanymi nieprawidłowościami w obrębie osi podwzgórzowo-przysadkowej, z uwzględnieniem przyczyn hormonalnych, organicznych i/lub genetycznych
2. Pacjenci po naświetlaniach czaszki lub leczeniu guzów wewnątrzczaszkowych
3. Pacjenci po urazach czaszki lub krwawieniach podpajęczynówkowych (w tej grupie zalecana jest ocena wydzielania GH nie wcześniej niż po 12 miesiącach od urazu bądź krwawienia, ze względu na możliwość samoistnego powrotu prawidłowej czynności osi somatotropinowej)

Testy stymulacyjne muszą być wykonane po wcześniejszym właściwym wyrównaniu niedoboru co najmniej kortyzolu i L-tyroksyny

# Pytanie 8. Jakie są najczęstsze przyczyny ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u osób dorosłych?

---

## Przyczyny niedoboru hormonu wzrostu u osób dorosłych:\*

-  guzy przysadki (44%)
-  czaszkogardłaki (11%)
-  radioterapia guzów mózgu (7%)
-  urazy mózgu (około 3%)
-  zespół Sheehana (około 3%)
-  limfocytarne zapalenie przysadki (1%)

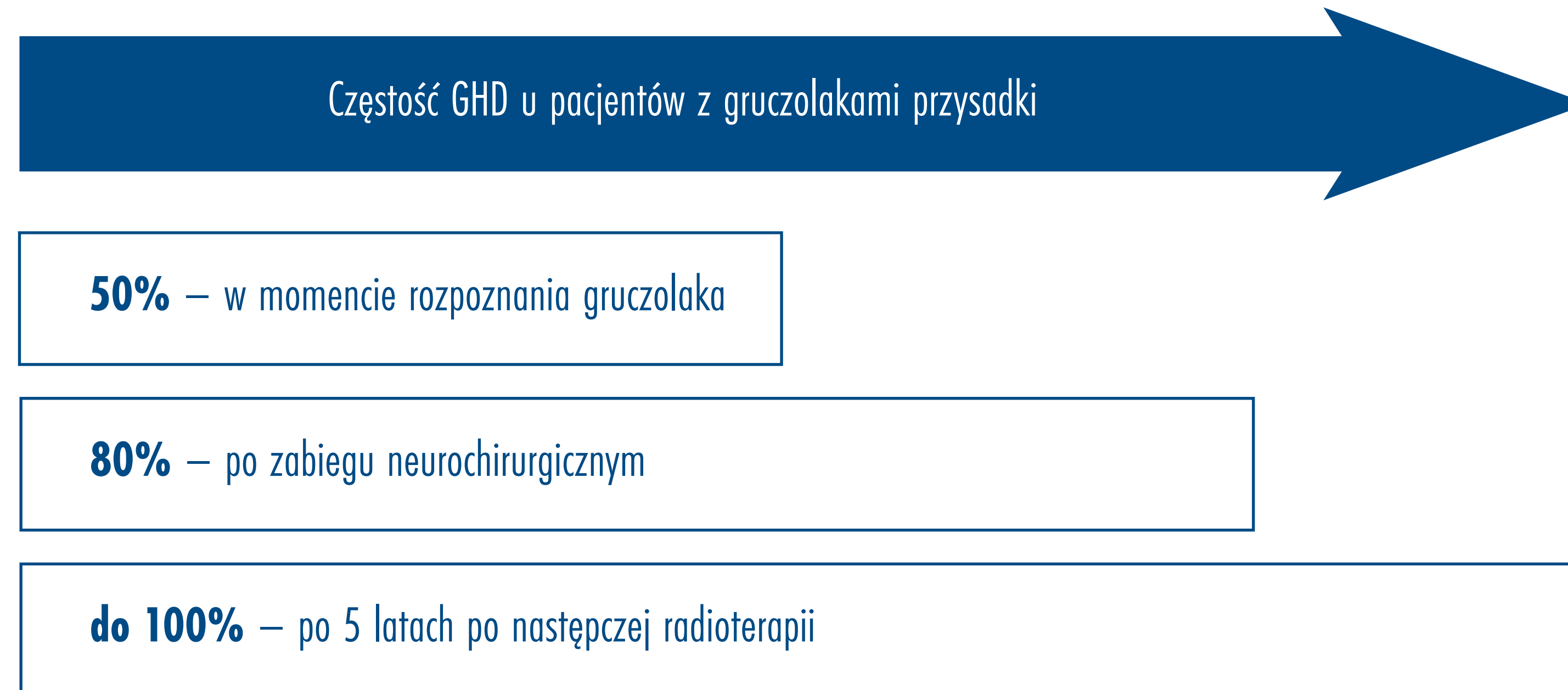
U około **16%** pacjentów ustalono rozpoznanie idiopatycznego niedoboru hormonu wzrostu.

\*Zgodnie z danymi KIMS (Pfizer International Metabolic Database, dawniej Pharmacia) opublikowanymi w 2009 r.



# Pytanie 8. Jakie są najczęstsze przyczyny ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u osób dorosłych?

Najczęstszą przyczyną niedoboru hormonu wzrostu (GHD) u osób dorosłych są guzy przysadki



# Pytanie 9. Jakie mogą być objawy i konsekwencje ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u osób dorosłych?

| Objawy podmiotowe   | Objawy przedmiotowe  | Odchylenia w badaniach dodatkowych   |
|---|--|--|
| Oslabienie, łatwa męczliwość, uczucie stałego zmęczenia   | Zmniejszenie masy mięśniowej z osłabieniem siły mięśni i wydolności fizycznej                  | Zaburzenia gospodarki lipidowej (wzrost stężenia cholesterolu całkowitego, cholesterolu LDL i triglicerydów, zmniejszenie stężenia cholesterolu HDL) |
| Obniżenie nastroju  | Wzrost masy tłuszczowej ciała, tzw. tkanka tłuszczowa centralna, wzrost wskaźnika talia–biodra |  |
| Zmniejszenie energii życiowej                             | Skóra blada, sucha, cienka, mało elastyczna  | Zmiany zanikowe mięśnia lewej komory serca   |
| Pogorszenie kontaktów społecznych z tendencją do izolacji | Oslabienie i przeredzenie owłosienia głowy   | Obniżenie gęstości mineralnej kości (osteoporoza, T-score < -2,5 SD)   |
| Zaburzenia reakcji emocjonalnych                          | Meszek na przedramionach, przeredzone owłosienie dołów pachowych i okolicy łonowej             | Zaburzenia funkcji nerek (zmniejszenie filtracji kłębuszkowej i przepływu nerkowego)   |
| Poczucie pogorszenia jakości życia                        | Zmniejszone pocenie  |  |
| Brak poczucia zdrowia                                     | Często nadciśnienie tętnicze i cechy niewydolności krążenia                                    |  |

# Pytanie 9. Jakie mogą być objawy i konsekwencje ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u osób dorosłych?

---

## Istotne konsekwencje długotrwałego niedoboru hormonu wzrostu u osoby dorosłej

- 🔥 Zwiększone ryzyko zgonu z powodu powikłań sercowo-naczyniowych
- 🔥 Częste złamania osteoporotyczne
- 🔥 Pogorszenie jakości życia

# Pytanie 10. Czy dawki rekombinowanego ludzkiego hormonu wzrostu (rhGH) są takie same u osób dorosłych i dzieci?

Dawkowanie rhGH u dzieci i dorosłych nie jest takie samo. Dawkowanie i sposób podawania należy dostosowywać indywidualnie

| Grupy pacjentów  | Zalecana dawka w przeliczeniu na kg masy ciała na dobę | Zalecana dawka w przeliczeniu na powierzchnię ciała na dobę | Dawka rhGH w programach lekowych (w przeliczeniu na masę ciała na tydzień) |
|--|--|---|--|
| Zaburzenia wzrostu wynikające z niedostatecznego wydzielania hormonu wzrostu | 0,025–0,035 mg   | 0,7-1,0 mg  | 0,1-0,33 mg/kg/tydzień   |
| Zaburzenia wzrostu związane z zespołem Turnera                               | 0,025–0,035 mg   | 1,4 mg  | 0,33-0,47 mg/kg/tydzień  |
| Zaburzenia wzrostu u niskich dzieci i młodzieży z SGA                        | 0,035 mg   | 1 mg  | 0,16-0,43 mg/kg/tydzień (optymalnie 0,25 mg/kg/tydzień)                    |
| Zespół Prader-Willi – w celu poprawy wzrostu i budowy ciała                  | 0,035 mg   | 1 mg  | 0,18-0,47 mg/kg/tydzień  |
| Zaburzenia wzrostu związane z przewlekłą niewydolnością nerek                | 0,045–0,050 mg   | 1,4 mg  | 0,33-0,37 mg/kg/tydzień  |

# Pytanie 10. Czy dawki rekombinowanego ludzkiego hormonu wzrostu (rhGH) są takie same u osób dorosłych i dzieci?

Dawkowanie rhGH u dzieci i dorosłych nie jest takie samo. Dawkowanie i sposób podawania należy dostosowywać indywidualnie

| Grupy pacjentów   | Dawkowanie   |
|---|--|
| Pacjenci kontynuujący terapię hormonem wzrostu po niedoborze hormonu wzrostu, który wystąpił w dzieciństwie | <b>Dawka początkowa: 0,2–0,5 mg na dobę</b>  |
|   | Dawkę należy stopniowo zwiększać lub zmniejszać zgodnie z indywidualnymi wymaganiami pacjenta ustalonymi na podstawie stężenia IGF-I   |
| Pacjenci z niedoborem hormonu wzrostu, który wystąpił w wieku dorosłym                                      | <b>Dawka początkowa: 0,15–0,3 mg na dobę</b>   |
|   | Dawka powinna być stopniowo zwiększana w zależności od indywidualnych potrzeb pacjenta, które określa stężenie IGF-I   |
| Grupa specjalna: pacjenci w wieku powyżej 60 lat  | <b>Dawka początkowa: 0,1–0,2 mg na dobę</b>  |
|   | Dawkę należy powoli zwiększać zgodnie z indywidualnymi wymaganiami pacjenta.<br>Należy stosować minimalną skuteczną dawkę. Dawka podtrzymująca u tych pacjentów bardzo rzadko przekracza 0,5 mg na dobę. |

W treści programu lekowego (B.111): dawki dobowe 0,1-0,8 mg.

# Pytanie 11. Jakie są cele leczenia hormonem wzrostu u osób dorosłych i dzieci z różnymi wskazaniami?

| Rozpoznanie (niemowlęta, dzieci, młodzież)   | Cele leczenia hormonem wzrostu  |
|--|---|
| Zaburzenia wzrostu wynikające z niedostatecznego wydzielania hormonu wzrostu                                     | Substytucja GH: <ul style="list-style-type: none"><li>• promocja wzrastania (wzrost ostateczny zgodny z prognozą)</li><li>• korzystne działanie metaboliczne</li></ul>  |
| Zaburzenia wzrostu związane z zespołem Turnera   | Poprawa wzrostu ostatecznego (końcowego)  |
| Zaburzenia wzrostu związane z przewlekłą niewydolnością nerek  | Zapobieganie utrwaleniu i pogłębieniu niedoboru wzrostu związanego z przewlekłą niewydolnością nerek  |
| Zaburzenia wzrostu u niskich dzieci i młodzieży z SGA, które nie uzupełniły niedoboru wzrostu przez 4 lata życia | <ul style="list-style-type: none"><li>• Przyspieszenie tempa wzrastania</li><li>• Zwiększenie wzrostu ostatecznego (końcowego)</li><li>• Korzystne działanie metaboliczne</li></ul>   |
| Zespół Prader-Willi w celu poprawy wzrostu i budowy ciała  | <ul style="list-style-type: none"><li>• Wyrównanie zaburzeń metabolicznych spowodowanych bezwzględnym lub względnym niedoborem GH – cel nadrzędny</li><li>• Poprawa przebiegu wzrastania i wzrostu ostatecznego – cel drugorzędny</li></ul> |

# Pytanie 11. Jakie są cele leczenia hormonem wzrostu u osób dorosłych i dzieci z różnymi wskazaniami?

## Cel terapii hormonem wzrostu u pacjentów dorosłych z jego ciężkim niedoborem:

### O początku w wieku dziecięcym

- 🔥 **uzyskanie pełnego rozwoju somatycznego** (w tym optymalnej szczytowej masy kostnej i masy mięśniowej)
- 🔥 **zapobieganie pogorszeniu jakości życia**

### O początku w wieku dorosłym

- 🔥 **poprawa składu ciała** – zwiększenie beztłuszczowej masy ciała i zmniejszenie masy tłuszczowej, szczególnie w zakresie tkanki tłuszczowej trzewnej
- 🔥 **zwiększenie wydolności wysiłkowej**
- 🔥 **zmniejszenie ryzyka osteoporozy i złamań** jako rezultat przyrostu masy i gęstości mineralnej kości na skutek zwiększenia procesów odbudowy kości
- 🔥 **zapobieganie wystąpieniu powikłań sercowo-naczyniowych** wskutek korzystnego działania na gospodarkę lipidową, funkcję śródbłonnków, czynność mięśnia sercowego, a także obniżenie stężeń czynników prozapalnych i prokoagulacyjnych
- 🔥 **poprawa jakości życia i funkcjonowania w sferze psychicznej**

# Pytanie 12. Jakie badania trzeba wykonać i kiedy, aby zakwalifikować pacjenta dorosłego do leczenia hormonem wzrostu?

## Badania w celu kwalifikacji do programu lekowego B.111

### Badania laboratoryjne – badania hormonalne

- 🔥 Ocena stężenia IGF-I
- 🔥 Jeden lub dwa testy stymulujące sekrecję GH (podstawowym testem powinien być test stymulacyjny z zastosowaniem insuliny podanej dożylnie, w przypadku przeciwwskazań do tego testu lub konieczności wykonania dwóch testów należy wykonać test z glukagonem, lewodopą lub z arginina)
- 🔥 Oznaczenie stężenia TSH i FT4
- 🔥 Pomiar stężenia kortyzolu w godzinach porannych

### Inne badania laboratoryjne

- 🔥 Morfologia krwi z rozmazem
- 🔥 Jonogram surowicy krwi (co najmniej stężenie Na, K i Ca)
- 🔥 Ocena gospodarki węglowodanowej:
  - oznaczenie stężenia glukozy na czczo i odsetka hemoglobiny glikowanej (HbA<sub>1c</sub>) lub
  - test doustnego obciążenia glukozą – z oceną glikemii i insulinemii
- 🔥 Pełny lipidogram: stężenie triglicerydów, cholesterolu całkowitego, frakcji HDL i LDL



# Pytanie 12. Jakie badania trzeba wykonać i kiedy, aby zakwalifikować pacjenta dorosłego do leczenia hormonem wzrostu?

---

## Badania w celu kwalifikacji do programu lekowego B.111

- 🔥 Obrazowanie okolicy podwzgórzowo-przysadkowej (MRI lub TK z kontrastem)
- 🔥 USG jamy brzusznej
- 🔥 EKG, ewentualnie USG serca
- 🔥 Badanie dna oka
- 🔥 Inne badania i konsultacje w zależności od potrzeb
- 🔥 Ocena wzrostu, masy ciała i obwodu talii (wskaźnik BMI i WHR); zalecane: ocena składu ciała metodą bioimpedancji
- 🔥 Pomiar ciśnienia tętniczego krwi
- 🔥 Ocena jakości życia za pomocą odpowiedniego kwestionariusza (*quality of life, QoL*)

MRI – rezonans magnetyczny, TK – tomografia komputerowa

# Pytanie 12. Jakie badania trzeba wykonać i kiedy, aby zakwalifikować pacjenta dorosłego do leczenia hormonem wzrostu?

U pacjentów z niedoborem hormonu wzrostu rozpoznanym w dzieciństwie należy ocenić wydzielanie GH po upływie **co najmniej 1 miesiąca** od podania ostatniej dawki preparatu rhGH od zakończenia terapii promującej wzrastanie

## Wydzielanie GH w testach stymulacyjnych <3 ng/ml (ug/l)

### Testy stymulacyjne:

- 🔥 W izolowanej GHD – dwa różne testy stymulacyjne
- 🔥 W wielohormonalnej niedoczynności przysadki można wykonać jeden test stymulacyjny

### Odstąpienie od wykonania testów stymulacyjnych

W przypadku występowania wielohormonalnej niedoczynności przysadki w zakresie wszystkich osi (z wyjątkiem prolaktyny) i przy potwierdzeniu przyczyny organicznej lub genetycznej niedoczynności kwalifikacja do leczenia rhGH po potwierdzeniu obniżonego stężenia IGF-1 oznaczonego po upływie **co najmniej 1 miesiąca** od zakończenia terapii rhGH

# Omnitrope®

## Somatropin

**Omnitrope 5 mg/ 1,5 ml roztwór do wstrzykiwań. Omnitrope 10 mg/ 1,5 ml roztwór do wstrzykiwań. Skład:** Omnitrope 5 mg/1,5 ml: Każdy ml roztworu zawiera 3,3 mg somatropiny\*, co odpowiada 10 j.m. i 9 mg alkoholu benzylowego. 1 wkład zawiera 1,5 ml, co odpowiada 5 mg somatropiny\* (15 j.m.). **Omnitrope 10 mg/1,5 ml:** Każdy ml roztworu zawiera 6,7 mg somatropiny\*, co odpowiada 20 j.m. 1 wkład zawiera 1,5 ml, co odpowiada 10 mg somatropiny\* (30 j.m.). \*wytworzonej w komórkach *Escherichia coli* metodą rekombinacji DNA. **Wskazania:** Niemowlęta, dzieci i młodzieź: Zaburzenia wzrostu wynikające z niedostatecznego wydzielania hormonu wzrostu (niedobór hormonu wzrostu, GHD). Zaburzenia wzrostu związane z zespołem Turnera. Zaburzenia wzrostu związane z przewlekłą niewydolnością nerek. Zaburzenia wzrostu (wynik odchylenia standardowego [SDS] aktualnego wzrostu <-2,5 i SDS skorygowany względem wzrostu rodziców <-1) u dzieci i młodzieży z masą i/lub długością ciała urodzeniową <-2 odchylenia standardowe (SD), które nie uzupełniły niedoboru wzrostu przez okres 4 lat życia lub dłuższy (tempo wzrostu [HV]) podczas ostatniego roku SDS <0. Zespół Pradera-Willego (PWS), w celu poprawy wzrostu i budowy ciała. Rozpoznanie zespołu PWS powinno zostać potwierdzone odpowiednimi badaniami genetycznymi. Dorośli: Terapia zastępcza u dorosłych ze znacznym niedoborem hormonu wzrostu. Początek choroby w wieku dorosłym: Pacjenci, u których występuje ciężki niedobór hormonu wzrostu związany z niedoborami wielu hormonów w następstwie rozpoznanej patologii podwzgórzowej lub przysadkowej i u których występuje niedobór przynajmniej jednego hormonu przysadkowego niebędącego prolaktyną. U takich pacjentów należy przeprowadzić odpowiedni test dynamiczny w celu potwierdzenia lub wykluczenia niedoboru hormonu wzrostu. Początek choroby w dzieciństwie: Pacjenci, u których występował niedobór hormonu wzrostu w dzieciństwie w następstwie przyczyn wrodzonych, genetycznych, nabytych lub idiopatycznych. U pacjentów, u których występował niedobór hormonu wzrostu w dzieciństwie, należy przeprowadzić ponowną ocenę zdolności wydzielania hormonu wzrostu po ukończeniu procesu wzrastania. U pacjentów z dużym prawdopodobieństwem trwałego niedoboru hormonu wzrostu, tzn. przyczyną wrodzoną lub niedoborem hormonu wzrostu wtórnym po chorobie przysadkowej/podwzgórzowej lub po urazie, stężenie insulinopodobnego czynnika wzrostu I (IGF I) wynoszące SDS <-2 bez leczenia hormonem wzrostu przez ≥4 tygodnie należy uważać za wystarczający dowód na głęboki niedobór hormonu wzrostu. Wszyscy inni pacjenci wymagają przeprowadzenia testu IGF-I i I testu stymulacji hormonu wzrostu. **Dawkowanie i sposób podawania:** Diagnostykę i leczenie somatropiną powinni rozpoczynać i monitorować lekarze z kwalifikacjami i doświadczeniem w diagnostyce i leczeniu pacjentów z zaburzeniami wzrostu. Dawkowanie i sposób podawania należy ustalać indywidualnie. Zaburzenia wzrostu wynikające z niedostatecznego wydzielania hormonu wzrostu u dzieci i młodzieży: Zwykle 0,025-0,035 mg/kg/dobę lub 0,7-1,0 mg/m<sup>2</sup>/dobę (stosowano też większe dawki). Jeśli niedobór hormonu wzrostu występujący w dzieciństwie utrzymuje się w okresie dojrzewania, leczenie należy kontynuować w celu osiągnięcia pełnego rozwoju somatycznego (np. budowa organizmu, masa kostna). W celach obserwacyjnych uzyskanie prawidłowej maksymalnej masy kostnej zdefiniowanej jako punktacja T>-1 (tzn. standardyzowanej do średniej maksymalnej masy kostnej osoby dorosłej mierzonej absorpcjometrią podwójnej energii promieniowania Rt<sub>g</sub> z uwzględnieniem płci i pochodzenia etnicznego) jest jednym z celów terapeutycznych podczas okresu przejściowego. Wytyczne dotyczące dawkowania, patrz niżej punkt dotyczący osób dorosłych. Zespół Pradera-Willego, w celu poprawy wzrostu i budowy ciała u dzieci i młodzieży: Zwykle 0,035 mg/kg na dobę lub 1,0 mg/m<sup>2</sup>/dobę (nie więcej niż 2,7 mg/dobę). Leczenia nie prowadzić u pacjentów z tempem wzrostu <1 cm/rok i u których w niedługim czasie ma nastąpić skostnienie przynasad kości. Zaburzenia wzrostu wynikające z zespołu Turnera: Zaleca się 0,045-0,050 mg/kg/dobę lub 1,4 mg/m<sup>2</sup> na dobę. Zaburzenia wzrostu związane z przewlekłą niewydolnością nerek: 0,045-0,050mg/kg/dobę (1,4 mg/m<sup>2</sup>/dobę). Mogą być konieczne większe dawki, jeśli tempo wzrostu jest zbyt wolne. Po 6 miesiącach leczenia może być konieczna korekta dawki. Zaburzenia wzrostu u niskich dzieci i młodzieży, którzy urodzili się zbyt mali w stosunku do wieku ciążowego: Zwykle 0,035 mg/kg/dobę (1 mg/m<sup>2</sup>/dobę) do osiągnięcia ostatecznego wzrostu. Leczenie przerwać po roku, jeśli SDS dla tempa wzrostu wynosi <+1. Leczenie przerwać, jeśli tempo wzrostu wynosi <2 cm/rok i (jeśli wymaga to potwierdzenia) wiek kostny wynosi >14 lat (dziewczeta) lub >16 lat (chłopcy), co odpowiada skostnieniu nasadowych płytek wzrostu. Niedobór hormonu wzrostu u dorosłych: Kontynuacja terapii hormonem wzrostu po niedoborze hormonu wzrostu, który wystąpił w dzieciństwie: ponowne rozpoczęcie leczenia: 0,2-0,5 mg/dobę. Dawkę stopniowo zwiększać lub zmniejszać według indywidualnych wymagań pacjenta na podstawie stężenia IGF I. Niedobór hormonu wzrostu, który wystąpił w wieku dorosłym: początkowo mała dawka 0,15-0,3 mg/dobę. Dawkę zwiększa się stopniowo zależnie od potrzeb pacjenta (wg stężenia IGF-I). Celem leczenia w obu przypadkach jest osiągnięcie stężenia IGF-I w zakresie 2 SDS od średniej skorygowanej względem wieku. Pacjentom z prawidłowym IGF-I na początku leczenia należy podawać hormon wzrostu do osiągnięcia wartości IGF-I w górnym zakresie wartości prawidłowych, bez przekraczania 2 SDS. Dawkę należy ustalać biorąc pod uwagę odpowiedź kliniczną i działania niepożądane. U niektórych osób z niedoborem hormonu wzrostu stężenie IGF I nie wraca do normy mimo dobrej odpowiedzi klinicznej. Dawka podtrzymująca rzadko jest >1,0 mg/dobę. Kobiety mogą wymagać większej dawki niż mężczyźni, a mężczyźni wykazują z czasem zwiększoną wrażliwość na IGF-I. U kobiet (zwłaszcza stosujących doustną estrogenową HTZ) istnieje ryzyko nieosiągnięcia wymaganej dawki, a u mężczyzn istnieje ryzyko przekroczenia tej dawki. Co 6 miesięcy należy sprawdzać, czy dawka hormonu wzrostu jest odpowiednia. Fizjologiczne wytwarzanie hormonu wzrostu zmniejsza się z wiekiem, może być konieczne zmniejszenie dawki. U osób >60 lat dawka początkowa to 0,1-0,2 mg/dobę i należy zwiększać ją powoli zgodnie z wymaganiami pacjenta. Należy stosować minimalną dawkę skuteczną. Dawka podtrzymująca bardzo rzadko jest >0,5 mg. Wstrzyknięcia należy wykonywać podskónie, zmieniając miejsce podania w celu uniknięcia zaników tkanki tłuszczowej (lipotrofii). **Przeciwwskazania:** Nadwrażliwość na substancję czynną lub którąkolwiek substancję pomocniczą. Nie wolno stosować somatropiny, jeśli istnieją dowody na aktywność nowotworu. Przed rozpoczęciem leczenia hormonem wzrostu należy zakończyć leczenie przeciwnowotworowe, nowotwory wewnątrzczaszkowe muszą być nieaktywne. Leczenie należy przerwać w przypadku dowodu na rozrost nowotworu. Somatropiny nie wolno stosować do wspomagania wzrostu u pacjentów ze skostniałymi przynasadami kości. Nie wolno leczyć somatropiną pacjentów z ostrymi stanami krytycznymi, u których wystąpiły powikłania po operacjach na otwartym sercu, operacjach brzusznych, urazach wielonarządowych, ostrej niewydolności oddechowej lub podobnych stanach. **Ostrzeżenia i środki ostrożności:** Somatropina może wpłynąć na hamowanie aktywności dehydrogenazy II - hydroksysteroidowej typu 1 (II HSD1) i zmniejszyć stężenie kortyzolu w osoczu. U otrzymujących somatropinę pacjentów z wcześniej niezdiagnozowaną centralną (wtórną) niedoczynnością kory nadnerczy ujawnić się niedoczynność wymagająca zastępczej terapii glikokortykosteroidami, a u pacjentów z rozpoznaną wcześniej niedoczynnością kory nadnerczy leczonych glikokortykosteroidami może być konieczne zwiększenie stosowanej dawki po rozpoczęciu terapii somatropiną. Jednoczesna terapia estrogenowa: Jeśli kobieta stosująca somatropinę rozpoczyna doustną terapię estrogenową, może być konieczne zwiększenie dawki leku Omnitrope w celu podtrzymania IGF-1 w osoczu w zakresie prawidłowym dla wieku. Jeśli kobieta przyjmująca somatropinę przerywa doustną terapię estrogenową, może być konieczne zmniejszenie dawki somatropiny w celu uniknięcia zbyt dużego stężenia hormonu wzrostu i/lub działań niepożądanych. Wrażliwość na insulinę: somatropina może zmniejszać wrażliwość na insulinę. Osoby z cukrzycą mogą wymagać dostosowania dawek insuliny po rozpoczęciu leczenia somatropiną. Należy dokładnie obserwować pacjentów z cukrzycą, nietolerancją glukozy lub dodatkowymi czynnikami ryzyka cukrzycy. Czynność tarczycy: hormon wzrostu zwiększa pozataarczycową konwersję T4 do T3, co może powodować zmniejszenie stężenia T4 i zwiększenie stężenia T3 w surowicy. Obwodowe stężenia hormonów tarczycy utrzymywały się w normie dla osób zdrowych, ale niedoczynność tarczycy może teoretycznie zwinąć się u osób z subkliniczną niedoczynnością tarczycy. U wszystkich pacjentów należy obserwować czynność tarczycy. U pacjentów z niedoczynnością przysadki otrzymujących standardową terapię substytucyjną konieczna jest dokładna obserwacja możliwego wpływu hormonu wzrostu na czynność tarczycy. W przypadku wtórnego niedoboru hormonu wzrostu w przebiegu leczenia chorób nowotworowych należy zwrócić uwagę na objawy nawrotu nowotworu. U pacjentów, którzy w dzieciństwie przeżyli chorobę nowotworową występowało zwiększone ryzyko drugiego nowotworu wśród tych leczonych somatropiną po pierwszym nowotworze. U pacjentów otrzymujących radioterapię głowy w ramach leczenia pierwszego nowotworu najczęstszymi drugimi nowotworami były nowotwory śródczaszkowe, zwłaszcza oponiaki. U pacjentów z zaburzeniami endokrynologicznymi z niedoborem

hormonu wzrostu złuszczenie nasad kości udowych występuje częściej niż w populacji ogólnej. Pacjentów, którzy kuleją w trakcie leczenia somatropiną, należy zbadać. Łagodne nadciśnienie śródczaszkowe: w razie ciężkiego lub nawracającego bólu głowy, zaburzeń widzenia, nudności i/lub wymiotów zaleca się badanie dna oka w celu wykrycia obrzęku tarczy nerwu wzrokowego. W razie jego potwierdzenia należy brać pod uwagę rozpoznanie łagodnego nadciśnienia śródczaszkowego i przerwać leczenie hormonem wzrostu, jeśli to konieczne. Nie można określić zaleceń dotyczących kontynuacji leczenia hormonem wzrostu u pacjentów z przebytym nadciśnieniem śródczaszkowym. W razie wznowienia leczenia hormonem wzrostu należy obserwować, czy u pacjenta nie występują objawy nadciśnienia śródczaszkowego. Białaczka: U małej liczby pacjentów z niedoborem hormonu wzrostu (niektórzy leczeni somatropiną) zgłaszano występowanie białaczki. Brak dowodów na częstsze występowanie białaczki u otrzymujących hormon wzrostu osób bez czynników predysponujących. Przeciwiacta: Istnieje ryzyko wytworzenia się przeciwiact przeciwko somatropinie (somatropina zwiększyła wytwarzanie przeciwiact u ok. 1% pacjentów). Zdolność wiązania tych przeciwiact jest mała i nie wpływa na szybkość wzrastania. W razie niewyjaśnionego w inny sposób braku odpowiedzi na leczenie należy oznaczyć przeciwiacta przeciwko somatropinie. Podeszły wiek: Doświadczenie u osób >80 lat jest ograniczone. Pacjenci w podeszłym wieku mogą być bardziej wrażliwi na działanie somatropiny i na występowanie działań niepożądanych. Ostre stany krytyczne: Wpływ somatropiny na proces zdrowienia oceniano w 2 badaniach kontrolowanych placebo (u dorosłych pacjentów w stanie krytycznym z powikłaniami po operacjach na otwartym sercu, operacjach brzusznych, urazach wielonarządowych lub ostrej niewydolności oddechowej). Brak dostępnych danych dotyczących bezpieczeństwa leczenia substytucyjnego hormonem wzrostu u pacjentów w ostrym stanie krytycznym, należy ocenić stosunek korzyści z kontynuowania leczenia do możliwego ryzyka. Nie należy przekraczać maksymalnej zalecanej dawki dobowej. Dzieci i młodzieź Zapalenie trzustki: Jeśli u dziecka leczonego somatropiną wystąpi ból brzucha, należy brać pod uwagę zapalenie trzustki. Zespół Pradera-Willego: U pacjentów z PWS leczenie należy zawsze łączyć z ograniczeniem kalorii w diecie. Notowano zgony związane ze stosowaniem hormonu wzrostu u dzieci z PWS, u których występował ≥1 z czynników ryzyka: ciężka otyłość (wskaźnik masa ciała/wzrost >200%), zaburzenia czynności układu oddechowego w wywiadzie lub bezdech we śnie albo zakażenie układu oddechowego. Ograniczone niezidentyfikowanym drobnoustrojem. Zagrożenie u pacjentów z PWS oraz ≥1 z wymienionych czynników ryzyka może być większe. Przed zastosowaniem somatropiny pacjentów z PWS należy przebadać w celu wykrycia niedrożności górnych dróg oddechowych, bezdechu we śnie lub zakażenia układu oddechowego. W razie nieprawidłowych wyników oceny niedrożności górnych dróg oddechowych dziecko należy skierować do otolaryngologa w celu leczenia i opanowania zaburzenia oddechowego przed rozpoczęciem leczenia hormonem wzrostu. Bezdech we śnie należy zbadać przed rozpoczęciem leczenia hormonem wzrostu uznaną metodą, tj. polisomnografia lub oksymetria nocna i monitorować w razie potrzeby. Jeśli w trakcie leczenia somatropiną wystąpią objawy obstrukcji dróg oddechowych (w tym pojawienie się lub nasilenie chrapania), należy przerwać leczenie i przeprowadzić nowe badanie laryngologiczne. Pacjentów należy monitorować w celu wykrycia objawów zakażenia układu oddechowego, które należy rozpoznawać i możliwie najwcześniej intensywnie leczyć. U wszystkich pacjentów z PWS należy skutecznie kontrolować masę ciała przed i w trakcie leczenia hormonem wzrostu. U pacjentów z PWS często występuje boczne skrzywienie kręgosłupa (skolioza). Może ono postępować u każdego dziecka w okresie szybkiego wzrostu. Należy obserwować pacjentów w celu wykrycia objawów skoliozy. Doświadczenie dotyczące przedłużonego leczenia dorosłych i pacjentów z PWS jest ograniczone. Mała masa urodzeniowa: U niskich dzieci i młodzieży, którzy urodzili się zbyt mali w stosunku do wieku ciążowego, przed rozpoczęciem leczenia należy wykluczyć inne przyczyny medyczne lub leki, które mogłyby być przyczyną zaburzeń wzrostu. U dzieci i młodzieży z małą masą urodzeniową należy przed rozpoczęciem leczenia, a potem co rok oznaczać we krwi stężenie insuliny i glukozy na czczo. U pacjentów ze zwiększonym ryzykiem cukrzycy (np. z cukrzycą w wywiadzie rodzinnym, otyłością, nasiloną insulinoopornością, rogowaceniem ciemnym) należy wykonać test doustnego obciążenia glukozą. W razie objawowej cukrzycy nie należy podawać hormonu wzrostu. U dzieci i młodzieży z małą masą urodzeniową należy oznaczać stężenia IGF-I przed rozpoczęciem leczenia, a następnie 2 razy w roku. Jeśli wyniki powtarzanych oznaczeń IGF-I odbiegają o 2 odchylenia standardowe (+2 SD) od wartości referencyjnych dla danego wieku i fazy dojrzewania, można brać pod uwagę stosunek IGF-I / IGFBP-3 w celu rozważenia modyfikacji dawki. Ograniczone jest doświadczenie w rozpoczęciu leczenia pacjentów urodzonych z masą ciała za małą w stosunku do wieku ciążowego, bezpośrednio przed okresem pokwitania. Nie należy rozpoczynać leczenia bezpośrednio przed okresem pokwitania. Doświadczenie u pacjentów z zespołem Silvera-Russella jest ograniczone. U niskich dzieci i młodzieży urodzonych z masą ciała za małą w stosunku do wieku ciążowego przerwanie leczenia przed ukończeniem procesu wzrastania może spowodować częściową utratę przyrostu wzrostu uzyskanego dzięki leczeniu hormonem wzrostu. Przewlekła niewydolność nerek: U osób z przewlekłą niewydolnością nerek leczenie należy rozpoczynać przy pogorszeniu czynności nerek o >50% w stosunku do normy. Przed rozpoczęciem leczenia należy przez rok kontrolować tempo wzrostu w celu potwierdzenia zaburzeń wzrastania. Należy w tym czasie wdrożyć zachowawcze leczenie niewydolności nerek (wyrównanie kwasicy, nadczynności przytarczyc i kontrola stanu odżywienia) i kontynuować je podczas leczenia. Leczenie należy przerwać w przypadku przeszczepienia nerki. Brak danych na temat ostatecznego wzrostu osiąganego przez leczonych somatropiną pacjentów z przewlekłą niewydolnością nerek. Leku Omnitrope 5 mg/1,5 ml nie podawać wcześniakom lub noworodkom ze względu na zawartość alkoholu benzylowego. Lek może powodować zatruć i reakcje rzekomoanafaktyczne u niemowląt i dzieci <3 lat. **Działania niepożądane:** U osób z niedoborem hormonu wzrostu występuje zmniejszenie objętości przestrzeni pozakomórkowej. Po rozpoczęciu leczenia somatropiną jest on gwałtownie wyrównywany. U dorosłych pacjentów często występują działania niepożądane związane z retencją płynów, tj. obrzęki obwodowe, sztywność kończyn, bóle stawów, bóle mięśni i parestezje. Są one zwykle łagodne do umiarkowanych, pojawiają się w pierwszych miesiącach leczenia i ustępują samoistnie lub po zmniejszeniu dawki leku. Częstość tych działań zależy od dawki leku, wieku i prawdopodobnie jest odwrotnie proporcjonalna do wieku pacjenta w momencie wystąpienia niedoboru hormonu wzrostu. U dzieci i młodzieży takie działania niepożądane występują niezbyt często. Dzieci z niedoborem hormonu wzrostu: Bardzo często: reakcje w miejscu wstrzyknięcia. Niezbyt często: białaczka, bóle stawów. Częstość nieznaną: cukrzyca typu 2, parestezje, łagodne nadciśnienie śródczaszkowe, bóle mięśni, sztywność mięśniowo-szkieletowa, obrzęki obwodowe, zmniejszenie stężenia kortyzolu we krwi. Dzieci z zespołem Turnera: Bardzo często: bóle stawów. Częstość nieznaną: białaczka, cukrzyca typu 2, parestezje, łagodne nadciśnienie śródczaszkowe, bóle stawów, bóle mięśni, sztywność mięśniowo-szkieletowa, obrzęki obwodowe, zmniejszenie stężenia kortyzolu we krwi. Dzieci z zespołem Pradera-Willego: Często: reakcja w miejscu wstrzyknięcia. Częstość nieznaną: białaczka, cukrzyca typu 2, parestezje, łagodne nadciśnienie śródczaszkowe, bóle stawów, bóle mięśni, sztywność mięśniowo-szkieletowa, obrzęki obwodowe, zmniejszenie stężenia kortyzolu we krwi. Dzieci, które urodziły się zbyt małe w stosunku do wieku ciążowego: Często: reakcja w miejscu wstrzyknięcia. Niezbyt często: bóle stawów. Częstość nieznaną: białaczka, cukrzyca typu 2, parestezje, łagodne nadciśnienie śródczaszkowe, bóle mięśni, sztywność mięśniowo-szkieletowa, obrzęki obwodowe, zmniejszenie stężenia kortyzolu we krwi. Dzieci z PWS: Często: parestezje, łagodne nadciśnienie śródczaszkowe, bóle stawów, bóle mięśni, obrzęki obwodowe. Częstość nieznaną: białaczka, cukrzyca typu 2, sztywność mięśniowo-szkieletowa, reakcje w miejscu wstrzyknięcia, zmniejszenie stężenia kortyzolu we krwi. Dorośli z niedoborem hormonu wzrostu: Bardzo często: bóle stawów, obrzęki obwodowe. Często: parestezje, zespół cieśni nadgarłka, bóle mięśni, sztywność mięśniowo-szkieletowa. Częstość nieznaną: cukrzyca typu 2, łagodne nadciśnienie śródczaszkowe, reakcje w miejscu wstrzyknięcia, zmniejszenie stężenia kortyzolu we krwi. Szczegółowy opis działań niepożądanych, patrz ChPL. Działania niepożądane można zgłaszać do Departamentu Monitorowania Niepożądanych Działań Produktów Leczniczych URPL (Al. Jerozolimskie 181C, 02-222 Warszawa, tel.: + 48 22 49 21 301, faks: + 48 22 49 21 309, e-mail: ndl@urpl.gov.pl) lub do podmiotu odpowiedzialnego. **Podmiot odpowiedzialny:** Sandoz GmbH, Biochemiestrasse 10, 6250 Kundl, Austria. **Pozwolenie KE:** EU/1/06/332/004, EU/1/06/332/005, EU/1/06/332/006 (Omnitrope 5 mg/1,5 ml); EU/1/06/332/007, EU/1/06/332/008, EU/1/06/332/009 (Omnitrope 10 mg/1,5 ml). **Kategoria dostępności:** Lek wydawany z przepisu lekarza do zastrzeżonego stosowania. Pełna informacja dostępna w Sandoz Polska Sp. z o.o., 02-672 Warszawa, ul. Domaniewska 50 C, tel: 22 209 70 00, www.sandoz.pl.

# SANDOZ