



Dokumentnamn

**Beslut**

Beslutsdatum

2021-04-19

Diarienummer

Ö 28-2021/3.1

## Klagande

Region Stockholm

## Överklagat beslut

Etikprövningsmyndighetens beslut den 2 mars 2021, dnr 2021-00502, se Bilaga

**Projekttitel:** En randomiserad, parallellgrupp, placebokontrollerad (dubbelblind) och aktivt kontrollerad (öppen) multicenterstudie för att jämföra effekten och säkerheten av lonapegsomatropin som tas en gång per vecka med placebo och en somatropinprodukt som tas dagligen, hos vuxna med brist på tillväxthormon.

## Saken

Prövning enligt lagen (2003:460) om etikprövning av forskning som avser människor (etikprövningslagen)

---

## Överklagandenämndens beslut

Överklagandenämnden för etikprövning ändrar inte det överklagade beslutet.

## Bakgrund

Otillräcklig produktion av tillväxthormon hos vuxna kan ha negativa effekter på skelett, muskler, ämnesomsättning, hjärta och kognitiva funktioner. Standardbehandling för tillväxthormonbrist är sedan många år dagliga injektioner av tillväxthormonpreparat. Det danska läkemedelsföretaget Ascendis Pharma Endocrinology Division A/S (studiens sponsor) har utvecklat ett nytt långtidsverkande tillväxthormonpreparat (lonapegsomatropin), som administreras 1 gång/vecka. Preparatet har hittills undersökts på fler än 400 personer och det har visat sig vara säkert och väl tolererat.

Den aktuella fas 3-studien omfattar ytterligare 240 forskningspersoner, rekryterade vid kliniker i Nordamerika, Europa, Asien, inklusive Kina, Japan och Oceanien. Studiens primära syfte är att hos vuxna med brist på tillväxthormon under 38 veckor utvärdera effekten av lonapegsomatropin jämfört med placebo. Preparatet ska också jämföras med en godkänd produkt (norditropin) som kalibreringsarm för att underlätta den kliniska bedömningen av studieresultaten. Båda tillväxthormonpreparaten innehåller samma aktiva substans, medan placebo bara innehåller de hjälpämnen som också finns i studieläkemedlet. Ett kriterium för att ingå som försöksperson i studien är att sedan 12 månader tillbaka inte alls ha haft någon behandling med tillväxthormon, antingen för att den ännu inte påbörjats eller för att den av någon orsak avbrutits. Behandlingens effekt mäts främst som förändring i andelen kroppsfett studievecka 38 (bedömt med DXA).

Etikprövningsmyndigheten har godkänt den forskning som anges i ansökan för de aktiva behandlingsarmarna, men avslagit placeboarmen. Myndigheten har ansett att riskerna med utesluten behandling för placebogruppen och de följder som metoden kan ha – att undanhålla patienter en etablerad och effektiv behandling av deras hormonbrist, med såväl metabola risker som

---

### Postadress

Överklagandenämnden för etikprövning  
c/o Vetenskapsrådet  
Box 1035  
101 38 Stockholm

### Besöksadress

Västra Järnvägsgränd 3

### Telefon

08-546 77 610 vx

### E-post

kansli@onep.se  
**Webbplats**  
www.onep.se



Dokumentnamn

**Beslut**

Beslutsdatum

2021-04-19

Diarienummer

Ö 28-2021/3.1

påverkan på livskvalitet – bedöms som oetiska. Den vetenskapliga nyttan med projektets metod har vidare ansetts begränsad och att riskerna med utesluten eller framskjuten behandling därför överstiger den förväntade vetenskapliga nyttan. Stråldosrestriktionen har fastställts till 2 mSv.

Klaganden menar att placebojämförelsen behövs för att kunna visa att effekten av studieläkemedlet är bättre än att förbli obehandlad. Den behandlingsfria perioden placebobehandlade genomgår anses inte vara skadlig, försämra tillståndet signifikant eller påverka framtida behandling med tillväxthormon. Studieprotokollet ändras för att tillgodose kravet om maximalt 2 mSv stråldos genom att utesluta CT-screening.

### Skäl för beslutet

Överklagandenämnden uppfattar att de studier som redan genomförts på såväl barn som vuxna individer visat att prövningsläkemedlet lonapegsomatropin tolereras väl och att inga allvarliga biverkningar förekommit. Hos barn har läkemedelsfölsamheten ökat. Det är av värde att även hos vuxna utvärdera denna effekt, men för detta syfte är inte en obehandlad placebogrupp nödvändig, utan jämförelsen bör göras med standardbehandling dvs. norditropin. Överklagandenämnden anser att riskerna med utesluten eller framskjuten behandling överstiger den förväntade vetenskapliga nyttan av studien och ändrar därför inte det överklagade beslutet.

Överklagandenämndens beslut får enligt 37 § etikprövningslagen inte överklagas.

Detta beslut har fattats av Ann-Christine Lindeblad, Yvonne Lundberg Giwercman (föredragande), Kjell Asplund, Anna Sarkadi, Ann Wennerberg, Bengt Gustafsson och Lena Näslund. Vid den slutliga handläggningen har dessutom ersättarna Carina Gunnarsson, Gert Helgesson, Christina Eintrei, Ingemar Engström, Johan Fritzell och Birgitta Hübinette samt kanslichefen Jörgen Svidén, administrativa sekreteraren Katarina Gate Lundgren och juristerna Amelie Metz och Johanna Sjöcrona deltagit.

På Överklagandenämndens vägnar

Ann-Christine Lindeblad  
Ordförande