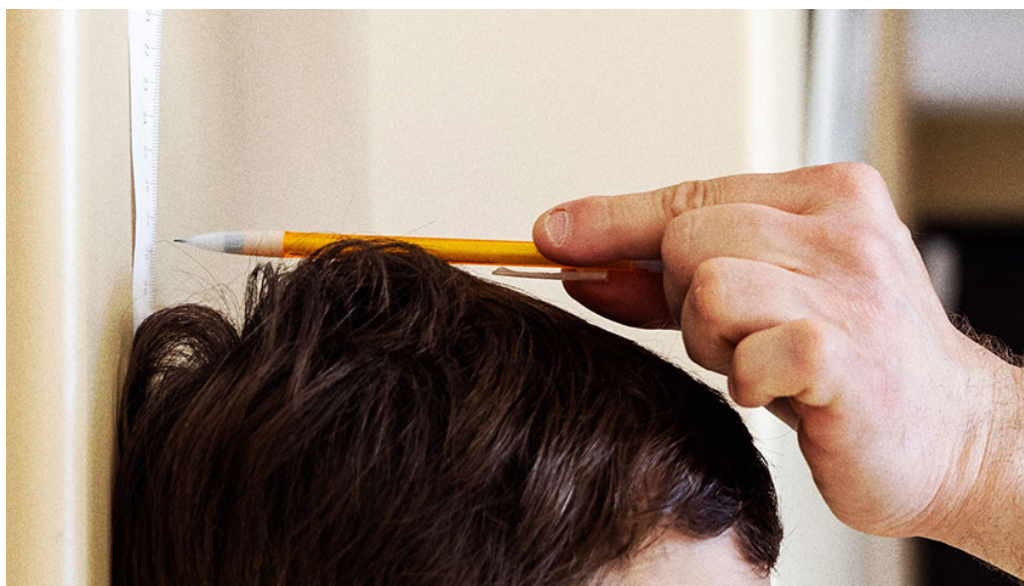

Nye legemidler mot kortvoksthet

FRA ANDRE TIDSSKRIFTER

KRISTOFFER BRODWALL

Barne- og ungdomsklinikken
Haukeland universitetssjukehus

Infigratinib, en kinasehemmer, kan føre til økt lengdevekst hos barn med akondroplasi.



Illustrasjonsfoto: LeoPatrizi/iStock. Tilpasset av Tidsskriftet

Akondroplasi er en genetisk betinget skjelettdysplasi og den vanligste årsaken til kortvoksthet. Tilstanden skyldes en mutasjon som gir økt aktivitet i genet for fibroblastvekstfaktor-reseptor type 3 (FGFR3). Infigratinib er en kinasehemmer som gitt peroralt hemmer denne reseptoren. Den har tidligere blitt brukt til å behandle enkelte kreftformer som skyldes mutasjoner i det samme reseptorgenet.

Infigratinib er nylig testet ut i en fase 2-studie med 72 barn med akondroplasi i alderen 3–11 år [\(1\)](#). Barna ble delt i fem grupper, som fikk varierende doser av infigratinib. Etter 18 måneder var høydeveksten størst i gruppen som fikk høyest dose infigratinib, dvs. 0,25 mg/kg. Veksthastigheten til disse 12 barna økte i gjennomsnitt med 2,5 cm per år. Dette medførte en økning i z-skår for

høyde på 0,5, dvs. at de klatret på vekstkurvene som er lagd for barn med akondroplasi. Alle barna fikk bivirkninger, men de fleste var milde og ingen førte til at behandlingen ble avbrutt.

– Dette er svært lovende resultater, sier Henrik Underthun Irgens, som er overlege ved Barneendokrinologisk seksjon på Haukeland universitetssjukehus, og som er førsteinvestigator i en påfølgende dobbeltblindet studie med infigratinib til barn med akondroplasi. Ifølge Irgens finnes det allerede et legemiddel, vosoritid, som er tilgjengelig og godkjent av europeiske legemiddelmyndigheter. Men i Norge har Beslutningsforum valgt å ikke innføre behandlingen på grunn av høy pris.

– Det er for tiden nok et legemiddel mot akondroplasi som er i fase 3-utprøving. Håpet er at konkurransen vil føre til at man kan ta i bruk ett eller flere av disse legemidlene i Norge om noen år. Inntil videre er inklusjon i studier den eneste måten norske barn kan få tilgang på medisinsk behandling mot akondroplasi, sier Irgens.

REFERENCES

1. Savarirayan R, De Bergua JM, Arundel P et al. Oral infigratinib therapy in children with achondroplasia. N Engl J Med 2024; NEJMoA2411790. [PubMed][CrossRef]

Publisert: 9. januar 2025. Tidsskr Nor Legeforen. DOI: 10.4045/tidsskr.24.0630
Opphavsrett: © Tidsskriftet 2026 Lastet ned fra tidsskriftet.no 21. mars 2026.