



EVENTO FORMATIVO

TrouGHislieri:

***approccio collegiale alla bassa statura in età evolutiva
Dal sospetto clinico alle nuove prospettive terapeutiche nel
deficit idiopatico di ormone della crescita (GHD)***

- ↪ **Provider ECM:** SUMMEET SRL – ID 604
- ↪ **Data:** **2 dicembre 2026**
- ↪ **Sede:** Collegio Ghislieri
Piazza Ghislieri, 5 - 27100 Pavia
- ↪ **Tipologia:** RES
- ↪ **Obiettivo:** Fornire un aggiornamento ai discenti sui temi emergenti, fare acquisire conoscenze teoriche e pratiche sulle recenti innovazioni, motivare il proprio paziente al proseguimento della terapia e renderlo consapevole dell'elevato rischio che comporta la non prosecuzione o avviamento della stessa.
- ↪ **Responsabile Scientifico:** ***Ilaria Brambilla***
- ↪ **Partecipanti:** 100 Medici Chirurghi (Pediatria di Libera Scelta, Pediatria, Endocrinologia pediatrica)
- ↪ **Durata (ore/giorni):** 6 ore formative – 6 crediti ecm

RAZIONALE SCIENTIFICO

Il deficit idiopatico di ormone della crescita (GHD) costituisce la principale causa endocrinologica di bassa statura.

In età pediatrica, la bassa statura rappresenta il principale aspetto clinico del deficit di ormone della crescita (GH), associato ad alterazioni della composizione corporea, a sviluppo puberale frequentemente ritardato e a potenziale disagio emotivo con insoddisfacente qualità di vita¹⁻³. La diagnosi precoce e un approccio terapeutico ottimale permettono di ripristinare una adeguata velocità di crescita e di raggiungere un'altezza definitiva coerente con il target genetico.

Nonostante la terapia con ormone della crescita ricombinante tradizionale (rhGH), a somministrazione giornaliera, rappresenti da decenni lo standard di cura, sicuro ed efficace, essa comporta una serie di sfide legate principalmente al burden del trattamento quotidiano. Queste difficoltà possono compromettere in modo significativo la qualità della vita, determinare una riduzione dell'aderenza posologica nel tempo e contribuire a ridimensionare complessivamente l'efficacia clinica del trattamento¹⁻⁴.

In questo contesto, lo sviluppo della nuova classe di GH long-acting (LAGH), a somministrazione settimanale, rappresenta un'evoluzione terapeutica sviluppata per rispondere agli unmet need dei pazienti trattati con terapia standard. In particolare, la minore frequenza di iniezione può favorire una maggiore



aderenza terapeutica, migliorare la qualità di vita e potenzialmente contribuire a un miglioramento della risposta clinica complessiva del trattamento. Somapacitan è un derivato dell'ormone della crescita umano (con una somiglianza del 99% rispetto all'ormone della crescita endogeno) che può essere somministrato una volta alla settimana, riducendo così i giorni di iniezione da 365 a 52 all'anno. Nel programma di studi REAL*, che ha coinvolto popolazioni pediatriche, somapacitan ha mostrato un profilo di efficacia e sicurezza equivalente⁵ alle formulazioni di GH a somministrazione quotidiana e una riduzione del burden di trattamento.¹

PROGRAMMA SCIENTIFICO

Ore 13.45 Apertura segreteria e accoglienza partecipanti

Ore 14.00 Saluti Introduttivi e Apertura Lavori
Gian Luigi Marseglia

Ore 14.15 Introduzione al corso e obiettivi del progetto
Ilaria Brambilla, Amelia Licari, Marco Zecca

SESSIONE I

Chairman: Riccardo Castagnoli

Ore 14.30 Il bambino con bassa statura: quando sospettare un deficit di ormone della crescita?
Inquadramento clinico, percorso diagnostico e criteri di invio al centro specialistico.
Enrico Tondina

Ore 15.15 La genetica delle basse stature e del deficit di ormone della crescita: quando richiederla e come interpretarne i risultati
Fabio Sirchia

Ore 16:00 Discussione sui temi trattati
Tutti i partecipanti

SESSIONE II

Chairman: Marco Zecca

Ore 16:20 L'età ossea nella pratica clinica: interpretazione della radiografia del carpo e principali criticità diagnostiche
Maria Sole Prevedoni Gorone, Luca Lungarotti

Ore 17:20 La risonanza magnetica dell'ipofisi nel deficit di GH: indicazioni, reperti e implicazioni cliniche
Luisa Chiapparini

Ore 17:50 Discussione sui temi trattati
Tutti i partecipanti

Ore 18:10 Coffee Break

SESSIONE III

Chairman: Carmelo Pistone



- Ore 18.25 La terapia con ormone della crescita oggi: dalle formulazioni giornaliere ai long-acting
- Indicazioni terapeutiche
 - Evidenze cliniche
 - Aderenza alla terapia
 - Le nuove prospettive terapeutiche con le formulazioni long-acting (LAGH)
- Ilaria Brambilla**
- Ore 19.25 Discussione multidisciplinare
- Moderatori: Silvia Maria Elena Caimmi, Katia Fontana, Gian Luigi Marseglia**
- Tutti i relatori e partecipanti**
- Ore 19.55 Take Home Messages
- Gian Luigi Marseglia**
- Ore 20.30 Chiusura del corso

Studi Clinici:

*studi REAL (*Randomised, Open-label, Controlled Trials Evaluating Efficacy and Safety of Somapacitan*) è una serie di studi clinici internazionali sviluppati per valutare l'efficacia, la sicurezza e il carico di trattamento (*treatment burden*) del somapacitan, un ormone della crescita ricombinante a lunga durata d'azione (LAGH) a somministrazione settimanale, in confronto alle terapie tradizionali a somministrazione giornaliera.

Obiettivi

- Inclusione dei pazienti: Gli studi hanno arruolato bambini affetti da deficit di ormone della crescita (GHD) mai trattati prima con terapia ormonale (*treatment-naïve*).
- Confronto: I pazienti sono stati divisi in gruppi per confrontare l'iniezione settimanale di somapacitan rispetto all'iniezione quotidiana di GH convenzionale (365 iniezioni all'anno contro 52).
- Parametri valutati:
 - Velocità di crescita annualizzata (*Height Velocity* - HV) in cm/anno.
 - Profilo di sicurezza e tollerabilità (reazioni nel sito di iniezione, eventi avversi).
 - Livelli di IGF-I (fattore di crescita insulino-simile 1).
 - Riduzione del carico della terapia per i piccoli pazienti e le loro famiglie (*patient/caregiver-reported outcomes*).

Risultati Chiave

- Efficacia Clinica Equivalente (Non-Inferiorità):
 - Nello studio di Fase 3 REAL 4 (pubblicato da Miller B.S. et al., 2022), la velocità di crescita a 52 settimane nei bambini trattati con somapacitan settimanale è risultata del tutto sovrapponibile a quella osservata con il GH giornaliero (circa 11,2 cm/anno vs 11,7 cm/anno).
 - Il raggiungimento dell'altezza, la maturazione dell'età ossea e la risposta dei marcatori biologici (IGF-I) si sono mantenuti sovrapponibili e nei range di normalità.
- Profilo di Sicurezza e Tollerabilità:
 - Somapacitan ha mostrato un profilo di sicurezza paragonabile al GH giornaliero, con una frequenza di reazioni o dolore nel sito d'iniezione molto bassa e simile tra i due gruppi.
 - Nello studio a lungo termine REAL 3 (Sävendahl L. et al.), l'efficacia e la tollerabilità si sono mantenute costanti nel tempo (fino a 7 anni di follow-up/estensione).
- Riduzione del Burden (Carico) Terapeutico e Aderenza:
 - Passare da 365 iniezioni all'anno a 52 iniezioni ha ridotto notevolmente lo stress da puntura, le interferenze nella vita quotidiana della famiglia e il disagio emotivo del bambino.
 - La riduzione dell'impegno quotidiano favorisce un'adesione costante al trattamento (*aderenza terapeutica*), fattore determinante per ottenere l'altezza definitiva coerente con il target genetico.

ACRONIMI:

GHD: Deficit di ormone della crescita

GH: Ormone della crescita

rhGH: Ormone della crescita umano ricombinante

LAGH: Ormone della crescita a Lunga Azione

Bibliografia:

1. Miller B.S., et al. J Clin Endocrinol Metab. 2022; 107 (12): 3378-3388.
2. Ross J., et al Pediatrics 2010; 125: e906–e 918.
3. Brod et al. Qual Life Res 2017;26:1673–86
4. Miller B.S., et al. Drug Des Devel Ther. 2024; 18: 291-306.
5. Savendhal L. et al. Journal of the Endocrine Society. 2026; 10 (1): bvaf189.

TABELLA FACULTY

NOME E COGNOME	LAUREA	SPECIALIZZAZIONE	AFFILIAZIONE
Amelia Licari	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Direttore SC Pediatria 2 Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Gian Luigi Marseglia	Medicina e Chirurgia	Allergologia, Pediatria, Malattie Infettive, Fisiopatologia Fisiocinesiterapia Respiratoria	Direttore Clinica Pediatrica, Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Marco Zecca	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Direttore Dipartimento Donna e Materno Infantile presso Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Riccardo Castagnoli	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Dirigente Medico Pediatra presso Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Enrico Tondina	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Dirigente Medico Pediatra presso Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Fabio Sirchia	Medicina e Chirurgia	Genetica Medica	Dirigente Medico Pediatra SS Genetica Clinica presso Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Maria Sole Prevedoni Gorone	Medicina e Chirurgia	Radiodiagnostica	Responsabile SS Radiologia Pediatrica presso Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Luca Lungarotti	Medicina e Chirurgia	Radiodiagnostica	Dirigente Medico Pediatra SS Radiologia Diagnostica per immagini 1 presso Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Luisa Chiapparini	Medicina e Chirurgia	Neurologia, Radiologia	Direttore SC Diagnostica per immagini Radiologia 2 Neuroradiologia Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Carmelo Pistone	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Dirigente Medico Pediatra presso Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Ilaria Brambilla	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Dirigente Medico nel Dip. Materno-infantile, Pediatria presso Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Silvia Maria Elena Caimmi	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Dirigente Medico Responsabile SS Pronto Soccorso Pediatrico presso Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Katia Fontana	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Dirigente Medico Pediatra presso Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia