ソムアトロゴン（遺伝子組換え）は遺伝子組換え技術を用いてCHO細胞から産生される糖タンパク質であり，hGHのアミノ酸配列のN末端にhCGのβ鎖からCTPのアミノ酸配列を1コピー，同じくC末端に2コピー（連続）を付加したものである。ソムアトロゴンは，CTP部位を付加することにより半減期を延長し，週1回投与での治療が可能となるよう設計された新規の遺伝子組換えhGH製剤（GH製剤）である。

骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症（GHD）は，GH の分泌不全を原因とする低身長症であり，成長速度の低下を伴う低身長が主たる症状である。低身長は体組成悪化や糖尿病のリスク増加に関連するだけでなく，QOL の低下や心理社会的問題とも関連する。

GHD に対する現行の標準治療は GH 製剤の皮下投与であり，GH 製剤を用いた GHD の治療により，成長速度が増加し成人身長が標準範囲内に近づくことに加え，QOL および心理社会的状態に好ましい影響を及ぼすことが示されている。一方，現在利用可能な GH 製剤はいずれも 1 週間に 6～7 回の頻回投与が必要であり，患者や保護者・介護者の時間的・労力的・心理的負担が大きいこと，長期の治療期間にわたり良好なアドヒアランスを維持するのは困難であることが課題となっている。

上述のとおり，アドヒアランスは現行の治療における問題点とみなされており，半減期を延長し，投与頻度を低減した GH 製剤は，本邦の GHD 患児および保護者・介護者の時間的・労力的・心理的負荷の軽減，ならびに治療アドヒアランスの向上に資すると考えられる。

今般，外国人および日本人患者を対象とした臨床試験において，本剤の GHD に対する有効性，安全性および忍容性が確認できたと判断し，以下の内容にて本剤の製造販売承認申請を行うこととした。

効能・効果（案）：

骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症

用法・用量（案）：

通常，ソムアトロゴン（遺伝子組換え）として 0.66 mg/kg を 1 週間に 1 回皮下投与する。