



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/716209/2018  
EMA/H/C/003794

## Strensiq (*asfotase alfa*)

Общ преглед на Strensiq и защо е разрешен за употреба в ЕС

### Какво представлява Strensiq и за какво се използва?

Strensiq е лекарство, което се използва за дългосрочно лечение на пациенти с хипофосфатазия, развита се в детството. Хипофосфатазия е рядко, наследствено заболяване на костите, което може да доведе до ранна загуба на зъби, малформации на костите, чести фрактури на костите и затруднения при дишане.

Съдържа активното вещество асфотаза алфа (*asfotase alfa*).

Хипофосфатазията се счита за рядко заболяване и Strensiq е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 3 декември 2008 г. Допълнителна информация за „лекарства сираци“ можете да намерите тук: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594).

### Как се използва Strensiq?

Strensiq се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да започне от лекар с опит в лечението на метаболитни или костни нарушения.

Предлага се под формата на инжекционен разтвор. Прилага се чрез инжекция под кожата шест пъти седмично (в доза 1 mg на килограм телесно тегло) или три пъти седмично (в доза 2 mg/kg). Тъй като приложеното количество зависи от телесното тегло на лицето, лекарят трябва да коригира дозата при промени в теглото на пациента, по-конкретно при растящи деца.

За повече информация относно употребата на Strensiq вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

### Как действа Strensiq?

Ензимът „тъканно-неспецифична алкална фосфатаза“ (ALP) има основно значение при създаването и поддържането на здрави кости и при разпределението на калций и фосфати в организма. При пациентите с хипофосфатазия не се произвежда достатъчно количество функционираща ALP, което води до слаби кости. Асфотаза алфа, активното вещество в Strensiq,



представлява вариант на човешкия ензим ALP и служи като заместител на дефектния ензим, като по този начин увеличава нивата на функционираща ALP.

## **Какви ползи от Strensiq са установени в проучванията?**

Strensiq е проучен в едно основно проучване при 13 деца на възраст между 6 и 12 години. На пациентите се прилага Strensiq 2 mg/kg или 3 mg/kg три пъти седмично в продължение на 24 седмици. Основният показател за ефективност на лекарството е подобрението в рентгенографиите на ставите на китките и колената на пациентите преди и след лечение със Strensiq. Рентгенографиите при деца, на които е прилаган Strensiq, са сравнени със сходни рентгенографии от 16 деца, които не са приемали Strensiq („исторически контроли“). В проучването са разгледани и други показатели за ефективност като увеличение на ръста. Проучването показва, че при децата, на които е прилаган Strensiq, има подобрение в ставната структура, както е демонстрирано чрез рентгенографиите, и при повечето от тях изглежда има увеличение на ръста. Когато за контрол се използват предходни случаи на заболяването, няма деца със сходни подобрения в ставите или ръста през сравним период от време. Допълнителни данни от продължението на това проучване при деца на възраст от 13 до 18 години потвърждават първоначалните резултати.

Ефективността на Strensiq по принцип е подкрепена и от няколко допълнителни, малки проучвания. Някои от проучванията изследват и дозата Strensiq от 1 mg/kg, прилагана шест пъти седмично.

## **Какви са рисковете, свързани със Strensiq?**

Най-честите нежелани реакции при Strensiq (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са главоболие, еритем (зачервяване на кожата), болка в ръцете и краката, температура, раздразнимост, реакции на мястото на инжектиране (като болка, обрив и сърбеж) и контузия (посиняване). За пълния списък на всички нежелани реакции и ограничения, съобщени при Strensiq, вижте листовката.

## **Защо Strensiq е разрешен за употреба в ЕС?**

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Strensiq са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Агенцията отбелязва, че хипофосфатазията е сериозно и животозастрашаващо заболяване, за което няма разрешено лечение. Въпреки че основното проучване е малко и не сравнява директно Strensiq с друго лечение или с нелекувани пациенти, Агенцията счита, че подобрението, наблюдавано в костите и очевидният растеж са значими. Като се има предвид, че хипофосфатазията е изключително рядко заболяване, данните при тази популация вероятно ще останат ограничени. По отношение на безопасността се счита, че реакциите на мястото на инжектиране и другите нежелани реакции подлежат на овладяване с наличните препоръки.

Strensiq е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Strensiq поради рядкото разпространение на заболяването. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

## **Каква информация се очаква за Strensiq?**

Тъй като Strensiq е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“, фирмата, която предлага Strensiq на пазара, ще изготви регистър на пациентите с хипофосфатазия, за да събере информация относно заболяването и дългосрочната безопасност и ефективност на Strensiq.

## **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Strensiq?**

Фирмата, която предлага на пазара Strensiq, ще предостави на пациентите и болногледачите образователни материали, за да се гарантира, че лекарството се използва правилно, както и за минимизиране на риска от грешки при лечението. Този материал ще включва наръчник за самоинжектиране, предназначен за пациентите, както и наръчник за инжектиране, предназначен за родителите или болногледачите на децата, страдащи от заболяването.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Strensiq, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени и в кратката характеристика на продукта, и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Strensiq непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Strensiq, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

## **Допълнителна информация за Strensiq**

Strensiq получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 28 август 2015 г.

Допълнителна информация за Strensiq можете да намерите на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ziextenzo](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ziextenzo).

Дата на последно актуализиране на текста: 10-2018.