



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Strensiq (*Asfotase alfa*)

### Übersicht über Strensiq und Begründung für die Zulassung in der EU

#### Was ist Strensiq und wofür wird es angewendet?

Strensiq ist ein Arzneimittel zur Langzeitbehandlung von Patienten mit Hypophosphatasie, die im Kindesalter aufgetreten ist. Hypophosphatasie ist eine seltene Erbkrankheit der Knochen, die zu frühzeitigem Zahnausfall, Knochenmissbildungen, häufigen Knochenbrüchen und Atembeschwerden führen kann.

Strensiq enthält den Wirkstoff Asfotase alfa.

Hypophosphatasie ist „selten“, und Strensiq wurde am 3. Dezember 2008 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594).

#### Wie wird Strensiq angewendet?

Strensiq ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Therapie sollte von einem in der Behandlung von Stoffwechsel- oder Knochenerkrankungen erfahrenen Arzt eingeleitet werden.

Das Arzneimittel ist als Injektionslösung erhältlich. Es wird entweder sechsmal pro Woche (in einer Dosis von 1 mg pro Kilogramm Körpergewicht) oder dreimal pro Woche (in einer Dosis von 2 mg/kg) unter die Haut injiziert. Da die anzuwendende Menge vom Körpergewicht abhängt, muss der Arzt die Dosis anpassen, wenn sich das Gewicht des Patienten ändert, insbesondere bei Kindern im Wachstum.

Weitere Informationen zur Anwendung von Strensiq entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

#### Wie wirkt Strensiq?

Das Enzym „gewebeunspezifische alkalische Phosphatase“ (ALP) spielt eine Schlüsselrolle bei der Bildung und Aufrechterhaltung gesunder Knochen und regelt die Kalzium- und Phosphatspiegel im Körper. Patienten mit Hypophosphatasie können nicht genügend funktionierende ALP produzieren, was schwache Knochen zur Folge hat. Bei Asfotase alfa, dem Wirkstoff von Strensiq, handelt es sich um



eine Version des menschlichen Enzyms ALP, die als Ersatz dient und dadurch die Spiegel funktionierender ALP erhöht.

## **Welchen Nutzen hat Strensiq in den Studien gezeigt?**

Strensiq wurde in einer Hauptstudie mit 13 Kindern zwischen 6 und 12 Jahren untersucht. Die Patienten erhielten 24 Wochen lang dreimal pro Woche entweder 2 mg/kg oder 3 mg/kg Strensiq. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit des Arzneimittels war die Verbesserung der Hand- und Kniegelenke der Patienten auf Röntgenaufnahmen vor und nach der Behandlung mit Strensiq. Die Röntgenaufnahmen von Kindern, die mit Strensiq behandelt wurden, wurden zudem mit ähnlichen Röntgenaufnahmen von 16 Kindern, die Strensiq nicht erhalten hatten, verglichen („historische Kontrollen“). Die Studie untersuchte auch die anderen Indikatoren für die Wirksamkeit, wie etwa das Längenwachstum. Diese Studie zeigte, dass Kinder, die mit Strensiq behandelt wurden, eine Verbesserung in der Gelenkstruktur aufwiesen, was anhand von Röntgenaufnahmen nachgewiesen wurde, und die meisten schienen an Körpergröße zuzunehmen. Bei den historischen Kontrollen waren bei den meisten Kindern über einen vergleichbaren Zeitraum keine ähnlichen Verbesserungen in den Gelenken oder bei der Zunahme der Körpergröße zu verzeichnen. Zusätzliche Daten aus einer Verlängerung dieser Studie an Kindern im Alter von 13 bis 18 Jahren bestätigten die anfänglichen Ergebnisse.

Die Wirksamkeit von Strensiq wurde auch im Allgemeinen von verschiedenen zusätzlichen kleinen Studien bestätigt. Einige Studien untersuchten auch die Dosis mit 1 mg/kg Strensiq sechsmal pro Woche.

## **Welche Risiken sind mit Strensiq verbunden?**

Sehr häufige Nebenwirkungen von Strensiq (die mehr als 1 von 10 Personen betreffen können) sind Kopfschmerzen, Erythem (Hautrötung), Schmerzen in Armen und Beinen, Fieber, Reizbarkeit, Reaktionen an der Injektionsstelle (wie etwa Schmerzen, Hautausschlag und Juckreiz) sowie Kontusionen (blaue Flecken). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Strensiq berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## **Warum wurde Strensiq in der EU zugelassen?**

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Strensiq gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Die Agentur stellte fest, dass Hypophosphatasie eine schwere, lebensbedrohliche Erkrankung ist, für die es keine zugelassene Behandlung gibt. Obwohl die Hauptstudie klein war und Strensiq nicht direkt mit einer anderen Behandlung oder unbehandelten Patienten verglichen wurde, gelangte die Agentur zu der Auffassung, dass die bei den Knochen zu sehende Verbesserung und das offensichtliche Wachstum als relevant zu erachten sind. Angesichts der Tatsache, dass Hypophosphatasie eine extrem seltene Krankheit ist, werden die Daten in dieser Population begrenzt bleiben. In Bezug auf die Sicherheit wurde festgestellt, dass Reaktionen an der Injektionsstelle und andere Nebenwirkungen mithilfe der bestehenden Empfehlungen behandelbar sind.

Strensiq wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Strensiq zu erlangen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Übersicht wird gegebenenfalls aktualisiert.

## **Welche Informationen werden für Strensiq noch erwartet?**

Da Strensiq eine Zulassung unter „außergewöhnlichen Umständen“ erteilt wurde, wird das Unternehmen, das Strensiq in Verkehr bringt, ein Verzeichnis von Patienten mit Hypophosphatasie erstellen, um Informationen zur Krankheit und Langzeitsicherheit und -wirksamkeit von Strensiq zu erfassen.

## **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Strensiq ergriffen?**

Das Unternehmen, das Strensiq in Verkehr bringt, wird Patienten und Betreuungspersonen Schulungsmaterialien bereitstellen, um die korrekte Anwendung des Arzneimittels sicherzustellen und das Risiko von Medikationsfehlern zu minimieren. Diese Materialien werden eine Anleitung zur Selbstinjektion für Patienten sowie eine Injektionsanleitung für Eltern und Betreuungspersonen von Kindern mit der Erkrankung enthalten.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Strensiq, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Strensiq kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Strensiq werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

## **Weitere Informationen über Strensiq**

Strensiq erhielt am 28. August 2015 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Strensiq finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq)

Diese Übersicht wurde zuletzt im 10-2018 aktualisiert.