



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Strensiq (*asfotasum alfa*)

Přehled pro přípravek Strensiq a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Strensiq a k čemu se používá?

Strensiq je léčivý přípravek, který se používá k dlouhodobé léčbě pacientů s hypofosfatázií, která se objevila v dětství. Hypofosfatázie je vzácné dědičné onemocnění kostí, které může vést k časně ztrátě zubů, deformaci kostí, častým zlomeninám kostí a potížím s dýcháním.

Přípravek Strensiq obsahuje léčivou látku asfotázu alfa.

Hypofosfatáza je vzácné onemocnění a přípravek Strensiq byl stanoven dne 3. prosince 2008 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Více informací o postupu stanovení léčivých přípravků pro vzácná onemocnění naleznete zde: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594).

### Jak se přípravek Strensiq používá?

Výdej přípravku Strensiq je vázán na lékařský předpis a léčbu by měl zahájit lékař, který má zkušenosti s léčbou metabolických nebo kostních poruch.

Přípravek je k dispozici ve formě injekčního roztoku. Podává se injekčně pod kůži buď šestkrát týdně (v dávce 1 mg na kilogram tělesné hmotnosti), nebo třikrát týdně (v dávce 2 mg/kg). Jelikož podávané množství závisí na tělesné hmotnosti pacienta, lékař musí dávku upravovat podle změn pacientovy hmotnosti, a to zejména u rostoucích dětí.

Více informací o používání přípravku Strensiq naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

### Jak přípravek Strensiq působí?

Enzym „tkáňově nespecifické alkalické fosfatázy“ (ALP) hraje klíčovou roli při tvorbě a udržování zdravých kostí a hospodaření s vápníkem a fosfáty v organismu. Pacienti s hypofosfatázií nemohou produkovat dostatek fungujícího enzymu ALP, což způsobuje křehkost kostí. Asfotáza alfa, léčivá látka v přípravku Strensiq, je verzí lidského enzymu ALP a slouží jako náhrada, čímž zvyšuje hladiny fungujícího enzymu ALP.



## **Jaké přínosy přípravku Strensiq byly prokázány v průběhu studií?**

Přípravek Strensiq byl zkoumán v jedné hlavní studii u 13 dětí ve věku od 6 do 12 let. Pacienti dostávali 2 mg/kg nebo 3 mg/kg přípravku Strensiq třikrát týdně po dobu 24 týdnů. Hlavním měřítkem účinnosti léčivého přípravku bylo zlepšení na rentgenových snímcích zápěstí a kolenních kloubů před léčbou přípravkem Strensiq a po ní. Rentgenové snímky dětí, kterým byl podáván přípravek Strensiq, byly rovněž porovnávány s podobnými rentgenovými snímky 16 dětí, které přípravek Strensiq neužívaly („historické kontrolní skupiny“). Studie sledovala i další měřítka účinnosti, např. přírůstek výšky. Tato studie prokázala, že u dětí, kterým byl podáván přípravek Strensiq, se zlepšila struktura kloubů, jak bylo vidět na rentgenových snímcích, a většina těchto dětí zjevně vyrostla. V historické kontrolní skupině za porovnatelné časové období většina dětí nezaznamenala podobná zlepšení kloubů ani přírůstek výšky. Další údaje z rozšířené fáze této studie u dětí ve věku od 13 do 18 let potvrdily původní výsledky.

Účinnost přípravku Strensiq byla obecně podpořena i v několika dalších malých studiích. Některé ze studií sledovaly i podávání přípravku Strensiq v dávce 1 mg/kg šestkrát týdně.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Strensiq?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Strensiq (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou bolest hlavy, erytém (zarudnutí kůže), bolest paží a nohou, horečka, podrážděnost, reakce (například bolest, vyrážka a svědění) a podlitina (zhmožděnina) v místě injekce. Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Strensiq je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Strensiq registrován v EU?**

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Strensiq převyšují jeho rizika a může tak být registrován k použití v EU.

Agentura konstatovala, že hypofosfatázie je závažné a život ohrožující onemocnění, pro které není schválena žádná léčba. Ačkoliv hlavní studie byla malá a neporovnávala přímo přípravek Strensiq s jinou léčbou nebo s neléčenými pacienty, agentura usoudila, že zlepšení pozorovaná u kostí a zjevný přírůstek výšky jsou relevantní. Vzhledem k tomu, že hypofosfatázie je extrémně vzácné onemocnění, údaje u této populace pravděpodobně zůstanou omezené. Z hlediska bezpečnosti byly reakce v místě vpichu injekce a další nežádoucí účinky považovány za zvladatelné pomocí zavedených doporučení.

Přípravek Strensiq byl registrován „za výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Strensiq získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

## **Jaké informace o přípravku Strensiq nebyly dosud předloženy?**

Jelikož přípravek Strensiq byl registrován za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Strensiq dodává na trh, založí rejstřík pacientů s hypofosfatázií s cílem shromáždit informace o tomto onemocnění a o dlouhodobé bezpečnosti a účinnosti přípravku Strensiq.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Strensiq?**

Společnost, která přípravek Strensiq dodává na trh, poskytne pacientům a jejich ošetřovatelům vzdělávací materiály k zajištění správného používání přípravku Strensiq a k minimalizaci rizika chyb při

jeho podávání. Tyto materiály budou zahrnovat návod k samopodání injekce pro pacienty a také návod k podání injekce pro rodiče nebo ošetřovatele dětských pacientů s tímto onemocněním.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Strensiq, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Strensiq průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Strensiq jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

## **Další informace o přípravku Strensiq**

Přípravek Strensiq obdržel rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 28. srpna 2015.

Další informace k přípravku Strensiq jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq).

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 10-2018.