



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*asfotase alfa*)

En oversigt over Strensiq, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Strensiq, og hvad anvendes det til?

Strensiq er et lægemiddel til langsigtet behandling af patienter med hypofosfatasi, der er begyndt i barndommen. Hypofosfatasi er en sjælden, arvelig knoglesygdom, der kan medføre tidligt tab af tænder, misdannede knogler, hyppige knoglebrud og vejrtrækningsbesvær.

Strensiq indeholder det aktive stof asfotase alfa.

Hypofosfatasi er sjælden, og Strensiq blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 3. december 2008. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594.

Hvordan anvendes Strensiq?

Strensiq udleveres kun efter recept, og behandlingen bør indledes af en læge med erfaring i behandling af stofskifte- eller knoglesygdomme.

Lægemidlet fås som en injektionsvæske, opløsning. Det gives ved injektion under huden enten seks gange ugentligt (i en dosis på 1 mg/kg legemsvægt) eller tre gange ugentligt (i en dosis på 2 mg/kg). Da mængden, der gives, afhænger af patientens kropsvægt, vil lægen være nødt til løbende at tilpasse dosis efter patientens vægt, navnlig hos børn i voksenalderen.

For mere information om brug af Strensiq, se indlægssedlen, eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Strensiq?

Enzymet "ikkevævsspecifik alkalisk fosfatase" (ALP) spiller en vigtig rolle i at skabe og opretholde raske knogler og regulere calcium og fosfat i kroppen. Patienter med hypofosfatasi kan ikke danne tilstrækkeligt af fungerende ALP. Dette medfører svage knogler. Det aktive stof i Strensiq, asfotase alfa, er en udgave af det menneskelige ALP-enzym og virker som erstatning, hvorved indholdet af fungerende ALP stiger.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Strensiq?

Strensiq er blevet anvendt i én hovedundersøgelse hos 13 børn mellem 6 og 12 år. Patienterne fik Strensiq, enten 2 mg/kg eller 3 mg/kg, tre gange om ugen i 24 uger. Lægemidlets virkning blev hovedsagelig bedømt på forbedringen i udseendet af håndled og knæled på røntgen før og efter behandlingen med Strensiq. Røntgenbilleder af børn, der fik Strensiq, blev desuden sammenlignet med tilsvarende røntgenbilleder fra 16 børn, der ikke havde fået Strensiq ("historiske kontroller"). I studiet blev der også registreret andre mål for virkningen, såsom højdevækst. Studiet viste, at børn, der fik Strensiq, fik forbedret strukturen af deres led, således som dette fremgik af røntgenbilleder, og størstedelen syntes at opnå højdevækst. Blandt de historiske kontroller fik størstedelen af børnene ikke tilsvarende forbedringer i deres led eller højdevækst i løbet af et sammenligneligt tidsrum. De indledende resultater bekræftedes af yderligere data fra en forlængelse af dette studie hos børn i alderen 13 til 18 år.

Effektiviteten af Strensiq blev derudover generelt understøttet af flere supplerende små studier. I nogle af undersøgelserne blev der desuden anvendt en dosis af Strensiq på 1 mg/kg seks gange ugentligt.

Hvilke risici er der forbundet med Strensiq?

De hyppigste bivirkninger ved Strensiq (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er hovedpine, rødme af huden (erytem), smerter i arme og ben, feber, irritabilitet, reaktioner på injektionsstedet (såsom smerter, udslæt og kløe) og blå mærker (kontusioner). Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Strensiq fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Strensiq godkendt i EU?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Strensiq opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Udvalget bemærkede, at hypofosfatasi er en alvorlig, livstruende sygdom, som der ikke findes nogen godkendt behandling for. Selv om hovedstudiet var lille og ikke direkte sammenlignede Strensiq med en anden behandling eller med ubehandlede patienter, fandt CHMP, at den konstaterede bedring i patienternes knogler og tilsyneladende vækst var relevant. Eftersom hypofosfatasi er en yderst sjælden sygdom, kan der kun forventes begrænsede oplysninger om denne patientgruppe. Vedrørende sikkerheden fandt udvalget, at virkningerne på injektionsstedet og andre bivirkninger kunne håndteres med de gældende anbefalinger.

Strensiq er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Strensiq, fordi sygdommen er sjælden. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Strensiq?

Da Strensiq er godkendt under særlige omstændigheder, skal virksomheden, der markedsfører Strensiq, oprette et register over patienter med hypofosfatasi for at indsamle oplysninger om sygdommen og om Strensiqs langsigtede sikkerhed og virkning.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Strensiq?

Virksomheden, der markedsfører Strensiq, skal desuden udlevere oplysningsmateriale til patienter og omsorgsgivere for at sikre, at Strensiq anvendes korrekt, og at risikoen for medicineringsfejl minimeres. Materialet skal omfatte en vejledning i selvinjektion for patienter og en vejledning i injektion for omsorgsgivere og forældre til børn med sygdommen.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Strensiq.

Som for alle lægemidler, bliver data vedrørende brug af Strensiq løbende overvåget. Bivirkninger rapporteret for Strensiq vurderes omhyggeligt, og der tages de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Strensiq

Strensiq fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 28. august 2015.

Yderligere information om Strensiq findes på agenturets websted under:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq

Denne oversigt blev sidst ajourført i 10-2018.