



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Strensiq (*asfotase alfa*)

Ανασκόπηση του Strensiq και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

### Τι είναι το Strensiq και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Strensiq είναι φάρμακο για τη μακροχρόνια θεραπεία ασθενών με υποφωσφατασία η οποία εμφανίζεται κατά την παιδική ηλικία. Η υποφωσφατασία είναι μια σπάνια κληρονομική νόσος των οστών, η οποία μπορεί να προκαλέσει πρόωρη απώλεια των δοντιών, δυσμορφίες στα οστά, συχνά κατάγματα των οστών και δυσκολία στην αναπνοή.

Το Strensiq περιέχει τη δραστική ουσία asfotase alfa.

Η υποφωσφατασία είναι «σπάνια» και το Strensiq χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 3 Δεκεμβρίου 2008. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594).

### Πώς χρησιμοποιείται το Strensiq;

Το Strensiq χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με εμπειρία στη διαχείριση μεταβολικών διαταραχών ή διαταραχών των οστών.

Το φάρμακο διατίθεται υπό μορφή ενέσιμου διαλύματος. Χορηγείται με υποδόρια ένεση έξι φορές την εβδομάδα (σε δόση 1 mg ανά κιλό σωματικού βάρους) ή τρεις φορές την εβδομάδα (σε δόση των 2 mg/kg). Δεδομένου ότι η χορηγούμενη ποσότητα εξαρτάται από το σωματικό βάρος του ασθενούς, ο γιατρός πρέπει να προσαρμόζει τη δόση ανάλογα με τις μεταβολές του βάρους του ασθενούς, ιδίως στα παιδιά που αναπτύσσονται.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Strensiq, ανατρέξτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

### Πώς δρα το Strensiq;

Το ένζυμο «μη ειδική για ιστό αλκαλική φωσφατάση» (ALP) διαδραματίζει σημαντικό ρόλο στη δημιουργία και διατήρηση της υγείας των οστών, όπως και στη διαχείριση του ασβεστίου και του φωσφόρου στον οργανισμό. Οι ασθενείς με υποφωσφατασία δεν μπορούν να παράγουν επαρκή επίπεδα

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



λειτουργούσας ALP, γεγονός που προκαλεί την εξασθένηση των οστών. Η δραστική ουσία του Strensiq, η asfotase alfa, είναι μια μορφή του ανθρώπινου ενζύμου ALP και χρησιμοποιείται ως υποκατάστατο, για την αύξηση των επιπέδων της λειτουργούσας ALP.

## **Ποια είναι τα οφέλη του Strensiq σύμφωνα με τις μελέτες;**

Διενεργήθηκε μία βασική μελέτη για το Strensiq στην οποία μετείχαν 13 παιδιά ηλικίας 6 έως 12 ετών. Οι ασθενείς έλαβαν 2 mg/kg ή 3 mg/kg Strensiq τρεις φορές την εβδομάδα επί 24 εβδομάδες. Ο κύριος δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας του φαρμάκου ήταν, σύμφωνα με τις ακτινογραφίες, η βελτίωση των αρθρώσεων καρπού και γόνατος πριν και μετά τη θεραπεία με Strensiq. Οι ακτινογραφίες παιδιών που έλαβαν Strensiq συγκρίθηκαν επίσης με αντίστοιχες ακτινογραφίες 16 παιδιών που δεν έλαβαν Strensiq (προϋπάρχοντες μάρτυρες). Στο πλαίσιο της μελέτης διερευνήθηκαν και άλλοι δείκτες της αποτελεσματικότητας, όπως η αύξηση του ύψους. Από τη συγκεκριμένη μελέτη προέκυψε ότι τα παιδιά που έλαβαν Strensiq παρουσίασαν βελτίωση της δομής των αρθρώσεων, όπως αποδεικνύεται με τις ακτινογραφίες, τα περισσότερα δε από αυτά φαίνεται να ψήλωσαν. Σε ό,τι αφορά τους προϋπάρχοντες μάρτυρες, τα περισσότερα παιδιά δεν παρουσίασαν παρόμοια βελτίωση στις αρθρώσεις τους ούτε ψήλωσαν κατά τη διάρκεια συγκρίσιμης χρονικής περιόδου. Τα αρχικά αποτελέσματα επιβεβαιώθηκαν από τα πρόσθετα δεδομένα μιας επέκτασης της συγκεκριμένης μελέτης σε παιδιά ηλικίας 13 έως 18 ετών.

Η αποτελεσματικότητα του Strensiq υποστηρίχθηκε γενικά από αρκετές πρόσθετες μικρές μελέτες. Σε ορισμένες από τις μελέτες εξετάστηκε επίσης η δόση 1 mg/kg Strensiq χορηγούμενη έξι φορές την εβδομάδα.

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Strensiq;**

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Strensiq (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι κεφαλαλγία, ερύθημα (ερυθρότητα του δέρματος), πόνος στα χέρια και στα πόδια, πυρετός, ευερεθιστότητα, αντιδράσεις στο σημείο της ένεσης (όπως πόνος, εξάνθημα και κνησμός) και μώλωπες (μελανιές). Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Strensiq περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

## **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Strensiq στην ΕΕ;**

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Strensiq υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και ενέκρινε τη χρήση του στην ΕΕ.

Ο Οργανισμός επεσήμανε ότι η υποφωσφατασία είναι μια σοβαρή και απειλητική για τη ζωή νόσος, για την οποία δεν υπάρχει εγκεκριμένη θεραπεία. Παρότι η βασική μελέτη ήταν μικρή και δεν συνέκρινε απευθείας το Strensiq με άλλη θεραπεία ή με ασθενείς που δεν έλαβαν θεραπεία, ο Οργανισμός έκρινε ότι παρατηρήθηκε σημαντική βελτίωση στα οστά των ασθενών και στην ανάπτυξή τους. Δεδομένου ότι η υποφωσφατασία είναι μια εξαιρετικά σπάνια νόσος, τα δεδομένα για τον συγκεκριμένο πληθυσμό είναι πολύ πιθανόν να παραμείνουν περιορισμένα. Σε ό,τι αφορά την ασφάλεια, οι αντιδράσεις στο σημείο της ένεσης και οι άλλες ανεπιθύμητες ενέργειες κρίθηκαν αντιμετωπίσιμες με τις ισχύουσες συστάσεις.

Το Strensiq εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων» διότι, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Strensiq. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα ανασκόπηση θα ενημερώνεται αναλόγως.

## **Ποια στοιχεία για το Strensiq αναμένεται να υποβληθούν;**

Δεδομένου ότι το Strensiq εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», η εταιρεία που εμπορεύεται το Strensiq θα καταρτίσει μητρώο ασθενών με υποφωσφατασία για τη συλλογή πληροφοριών σχετικά με τη νόσο και τη μακροχρόνια ασφάλεια και αποτελεσματικότητα του Strensiq.

## **Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Strensiq;**

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Strensiq θα παρέχει εκπαιδευτικό υλικό στους ασθενείς και στα άτομα που τους φροντίζουν προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το φάρμακο χρησιμοποιείται σωστά και να ελαχιστοποιηθεί ο κίνδυνος λάθους κατά τη χορήγηση της φαρμακευτικής αγωγής. Στο συγκεκριμένο υλικό θα συμπεριληφθούν οδηγίες αυτοένεσης για τους ασθενείς, καθώς και οδηγίες χορήγησης ένεσης για τους γονείς ή τα άτομα που φροντίζουν παιδιά με τη συγκεκριμένη πάθηση.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Strensiq.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Strensiq αποτελούν αντικείμενο συνεχούς παρακολούθησης. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Strensiq θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

## **Λοιπές πληροφορίες για το Strensiq**

Το Strensiq έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 28 Αυγούστου 2015.

Περισσότερες πληροφορίες για το Strensiq διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq)

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 10-2018.