



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (alfaasfotaas)

Ülevaade ravimist Strensiq ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Strensiq ja milleks seda kasutatakse?

Strensiq on ravim, mida kasutatakse lapseas alanud hüpofosfataasia pikaajaliseks raviks. Hüpofosfataasia on harvaesinev pärilik luuhaigus, mis võib põhjustada hammaste varajast väljalangemist, luude väärarengut, sagedaid luumurde ja hingamisraskusi.

Strensiq sisaldab toimeainena alfaasfotaasi.

Hüpofosfataasia esineb harva ja Strensiq nimetati 3. detsembril 2008 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594.

Kuidas Strensiqit kasutatakse?

Strensiq on retseptiravim ja ravi peab alustama ainevahetus- või luuhäirete ravis kogenud arst.

Strensiqit turustatakse süstelahusena. Seda manustatakse nahaaluse süstena kas 6 korda nädalas (annuses 1 mg kehakaalu kg kohta) või 3 korda nädalas (annuses 2 mg/kg). Et manustatav annus oleb kehakaalust, peab arst kohandama annust vastavalt patsiendi kehakaalu muutustele, eelkõige kasvavate laste puhul.

Lisateavet Strensiqi kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige oma arsti või apteekriga.

Kuidas Strensiq toimib?

Mittekoespetsiifiline aluseline fosfataas (ALP) on ensüüm, millel on oluline roll terve luukoe tekkel ja säilitamisel ning organismi kaltsiumi- ja fosfaadisalduse reguleerimisel. Hüpofosfataasiaga patsientidel ei teki organismis piisavalt toimivat ALP-d, mis nõrgestab luukude. Strensiqi toimeaine alfaasfotaas on inimensüümi ALP versioon, mis asendab defektset ensüümi, suurendades nii toimiva ALP kogust.



Milles seisneb uuringute põhjal Strensiqi kasulikkus?

Strensiqit uuriti ühes põhiuuringus, milles osales 13 last vanuses 6–12 aastat. Patsientidele manustati kas 2 mg/kg või 3 mg/kg Strensiqit 3 korda nädalas 24 nädala jooksul. Ravimi efektiivsuse põhinäitaja oli röntgenipiltide põhjal patsientide randmete ja põlveliigete paranemine enne ja pärast ravi Strensiqiga. Strensiqit saanud laste röntgenipilte võrreldi ka 16 Strensiqit mittesaanud lapse sarnaste röntgenipiltidega (varasemad andmed). Uuringus vaadeldi ka teisi efektiivsuse näitajaid, nagu kasv. Uuringus tõendati röntgenipiltide põhjal, et Strensiqit saanud laste liigete struktuur tugevnes ja enamiku laste kehapikkus suurenes. Varasematest andmetest ilmnis, et võrreldava ajaperioodi vältel ei tugevnenud enamiku laste liigesed ega suurenenud laste kehapikkus samal määral. Selle uuringu pikendusest 13–18aastaste laste kohta saadud lisaandmed kinnitasid algseid tulemusi.

Strensiqi efektiivsust toetasid üldjoontes ka mitu väikest lisauuringut. Mõnes uuringus vaadeldi ka 6 korda nädalas manustatava Strensiqi 1 mg/kg annuse toimet.

Mis riskid Strensiqiga kaasnevad?

Strensiqi kõige sagedamad kõrvalnähtud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on peavalu, erüteem (nahapunetus), valu kätes ja jalgades, palavik, ärrituvus, süstekoha reaktsioonid (nt valu, lööve ja sügelus) ning verevalumid. Strensiqi kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

ELis Strensiqile väljastatud müügiloa põhjendus

Euroopa Raviamet otsustas, et Strensiqi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja et ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Amet märkis, et hüpofosfataasia on raske ja eluohtlik haigus, millel puudub heakskiidetud ravi. Kuigi põhiuuring oli väike ja selles ei võrreldud otseselt Strensiqit muu raviga ega ravimata patsientidega, leidis amet, et luude seisundi paranemine ja nähtav kasv olid olulised. Et hüpofosfataasia on äärmiselt harvaesinev haigus, jäävad tõenäoliselt selle patsiendipopulatsiooni andmed piiratuks. Ohutuse aspektist peeti süstekoha reaktsioone ja muid kõrvalnähte hallatavaks, kui järgitakse kehtivaid soovitusi.

Strensiqi müügiluba anti erandkorras. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Strensiqi kohta täielikku teavet. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

Mis teavet Strensiqi kohta veel oodatakse?

Et Strensiq on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel, loob Strensiqit turustav ettevõtte hüpofosfataasiaga patsientide registri, et koguda teavet haiguse ning Strensiqi pikaajalise ohutuse ja efektiivsuse kohta.

Mis meetmed võetakse, et tagada Strensiqi ohutu ja efektiivne kasutamine?

Strensiqit turustav ettevõtte varustab patsiendid ja hooldajad õppematerjalidega, et tagada ravimi õige kasutamine ja minimeerida ravivigade riski. See hõlmab enesesüstimise juhendit patsientidele ning süstimisjuhendit haigete laste vanematele või hooldajatele.

Strensiqi ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse Strensiqi kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Strensiqi kõrvaltoimeid hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Strensiqi kohta

Strensiq on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 28. augustil 2015.

Lisateave Strensiqi kohta on ameti veebilehel:

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

Kokkuvõtte viimane uuendus: 10.2018.