



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Strensiq (*asfotaasi alfa*)

Yleistiedot Strensiqistä sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Strensiq on ja mihin sitä käytetään?

Strensiq on pitkäaikaiseen käyttöön tarkoitettu lääke, jolla hoidetaan lapsuudestaan asti hypofosfatasiaa sairastaneita potilaita. Hypofosfatasia on harvinainen perinnöllinen luusairaus, joka voi aiheuttaa hampaiden varhaista lähtemistä, luiden epämuodostumista, usein esiintyviä luunmurtumia ja hengitysvaikeuksia.

Strensiqin vaikuttava aine on asfotaasi alfa.

Hypofosfatasia on harvinainen sairaus. Strensiq nimettiin 'harvinaislääkkeeksi' (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 3. joulukuuta 2008. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594).

### Miten Strensiqiä käytetään?

Strensiqiä saa vain lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa vain lääkäri, jolla on kokemusta metabolisten sairauksien tai luusairauksien hoitamisesta.

Lääkettä on saatavana injektionesteenä. Se annetaan injektiona ihon alle joko kuusi kertaa viikossa (jolloin annos on 1 mg painokiloa kohti) tai kolme kertaa viikossa (jolloin annos on 2 mg/kg). Koska annettava annos määräytyy potilaan painon mukaan, lääkärin on muutettava annosta, kun potilaan paino muuttuu, etenkin kasvavilla lapsilla.

Lisätietoja Strensiqin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Miten Strensiq vaikuttaa?

"Tiettyyn kudokseen kohdistumaton alkalinen fosfataasi" -entsyymillä (ALP-entsyymi) on merkittävä tehtävä terveen luukudoksen luomisessa ja ylläpitämisessä sekä elimistön kalsium- ja fosfaattipitoisuuden hallinnassa. Hypofosfatasiaa sairastavat potilaat eivät voi tuottaa tarpeeksi toimivaa ALP:tä, jolloin näiden potilaiden luusto heikentyy. Asfotaasi alfa, Strensiqin vaikuttava aine, on eräänlyyppinen ihmisen ALP-entsyymi, joka toimii korvaavana aineena lisäten vaikuttavan ALP:n pitoisuutta elimistössä.



## Mitä hyötyä Strensiqistä on havaittu tutkimuksissa?

Strensiqiä on tutkittu kahdessa päätutkimuksessa, joissa oli mukana 13 iältään 6–12-vuotiasta lasta. Potilaille annettiin joko 2 mg/kg tai 3 mg/kg Strensiqiä kolmesti viikossa 24 viikon ajan. Lääkkeen tehon pääasiallisena mittana oli ranne- ja polvinivelien tilan paraneminen, jota tarkasteltiin ennen Strensiq-hoitoa ja sen jälkeen otetuista röntgenkuvista. Strensiqiä saaneiden lasten röntgenkuvia verrattiin myös röntgenkuviin, jotka otettiin 16 lapselta, jotka eivät olleet saaneet Strensiqiä ("historialliset verrokkit"). Tutkimuksessa tarkasteltiin myös muita tehon mittoja, kuten pituuden kasvua. Tämä tutkimus osoitti röntgenkuvien perusteella, että Strensiqiä saaneiden lasten nivelten rakenne parani, ja useimmat lapset myös näyttivät kasvavan pituutta. Verrokkiryhmän lapsilla vastaavaa parannusta nivelissä ei havaittu, eivätkä he kasvaneet pituutta vastaavalla ajanjaksolla. Tämän tutkimuksen lisätutkimuksesta, jossa oli mukana 13–18-vuotiaita lapsia, saadut lisätiedot vahvistivat alustavat tulokset.

Lisäksi Strensiqin tehoa tukivat myös useat muut pienet tutkimukset. Joissakin tutkimuksissa tarkasteltiin myös Strensiqin 1 mg/kg -annosta, joka annettiin kuusi kertaa viikossa.

## Mitä riskejä Strensiqiin liittyy?

Strensiqin yleisimmät sivuvaikutukset (joita voi esiintyä useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) ovat päänsärky, ihon punoitus, käsivarsien ja jalkojen kipu, kuume, ärtyisyys, pistoskohdan reaktiot (kipu, ihottuma ja kutina) ja mustelmat. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Strensiqin sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

## Miksi Strensiq on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Strensiqin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Virasto totesi, että hypofosfatasia on vakava ja hengenvaarallinen sairaus, johon ei ole hyväksyttyä hoitoa. Vaikka päätutkimus oli pieni ja vaikka siinä ei suoraan vertailtu Strensiqiä toiseen hoitoon tai hoitoa saamattomiin potilaisiin, virasto katsoi, että luukudoksen tilan paraneminen ja selvä pituuskasvu oli merkittävä asia. Koska hypofosfatasia on erittäin harvinainen sairaus, tiedot tästä potilasryhmästä jäävät todennäköisesti vähäisiksi. Turvallisuuden osalta pistoskohdan reaktioiden ja muiden sivuvaikutusten katsottiin olevan hallittavissa käytössä olevien suositusten myötä.

Strensiqille on myönnetty myyntilupa poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Strensiqistä ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

## Mitä tietoja Strensiqistä odotetaan vielä saatavan?

Koska Strensiqille on annettu myyntilupa poikkeusolosuhteissa, Strensiqiä markkinoiva yhtiö perustaa potilasrekisterin hypofosfatasiaa sairastavista potilaista, jotta sairaudesta ja Strensiqin pitkäaikaisesta turvallisuudesta ja tehosta voidaan kerätä tietoa.

## Miten voidaan varmistaa Strensiqin turvallinen ja tehokas käyttö?

Strensiqiä markkinoiva yhtiö toimittaa potilaille ja hoitajille perehdytysmateriaalia sen varmistamiseksi, että lääkettä käytetään asianmukaisesti ja että lääkitysvirheiden riski pysyy mahdollisimman pienenä.

Perehdytysmateriaali sisältää potilaille tarkoitetut ohjeet omatoimisesta injektoinnista sekä tätä sairautta sairastavien lasten vanhemmille ja hoitajille tarkoitetut injektointiohjeet.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Strensiqin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Strensiqin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Strensiqistä ilmoitetut sivuvaikutukset arvioidaan huolellisesti ja suoritetaan kaikki tarvittavat toimet potilaiden suojelemiseksi.

## **Muita tietoja Strensiqistä**

Strensiq sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 28. elokuuta 2015.

Lisää tietoa Strensiqistä on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq)

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 10-2018.