



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*aszfotáz-alfa*)

A Strensiq nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer a Strensiq és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Strensiq a gyermekkorban kezdődő hipofoszfatóziában szenvedő betegek hosszú távú kezelésére szolgáló gyógyszer. A hipofoszfatózia a csontok ritka örökletes betegsége, amely a fogak korai elvesztéséhez, csontdeformitásokhoz, gyakori csonttörésekhez és légzési nehézséghez vezethet.

A Strensiq hatóanyaga az aszfotáz-alfa.

Mivel a hipofoszfatózia „ritkának” minősül, ezért a Strensiq-et 2008. december 3-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594.

Hogyan kell alkalmazni a Strensiq-et?

A Strensiq csak receptre kapható, és a kezelést a metabolikus vagy csontbetegségek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvos kezheti meg.

A gyógyszer oldatos injekció formájában kapható. Bőr alatti injekcióként adják hetente hat alkalommal (testtömeg-kilogrammonként 1 mg dózisban) vagy hetente három alkalommal (2 mg/ttkg dózisban).

Mivel az alkalmazandó mennyiség függ a beteg testtömegétől, az orvosnak az adagot a beteg testtömeg-változásának megfelelően módosítania kell, különösen növésben lévő gyermekek esetében.

További információért a Strensiq alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Strensiq?

A „nem szövetspecifikus alkalikus foszfátáz” (ALP) nevű enzim kulcsfontosságú szerepet játszik az egészséges csontok felépítésében és fenntartásában, valamint a kalcium és a foszfát kontrolljában a szervezetben. A hipofoszfatóziában szenvedő betegek szervezete nem termel elég működő ALP-t, ami



gyenge csontokat eredményez. Az aszfotáz-alfa, a Strensiq hatóanyaga, a humán ALP enzim verziója, helyettesítőként szolgál, ezáltal növeli a működő ALP enzimek szintjét.

Milyen előnyei voltak a Strensiq alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Strensiq-et egy fő vizsgálatában tanulmányozták 13, 6-12 év közötti gyermek részvételével. A betegek 24 héten keresztül hetente háromszor 2 mg/ttkg vagy 3 mg/ttkg Strensiq-et kaptak. A gyógyszer hatásosságának fő mértéke a csukló- és térdízületek javulása volt a röntgenfelvételeken a Strensiq-kezelés előtt és után. A Strensiq-vel kezelt gyermekek röntgenfelvételeit 16 olyan gyermek hasonló felvételeivel is összehasonlították, akik nem kaptak Strensiq-et („historikus kontrollok”). A vizsgálatban a hatásosság egyéb mutatóit is tanulmányozták, mint például a testmagasság növekedését. Ez a vizsgálat azt mutatta, hogy a Strensiq-vel kezelt gyermekeknél a röntgenfelvételek alapján javult az ízületi szerkezet, és a legtöbb esetben a testmagasság is növekedett. A historikus kontrollok esetében a legtöbb gyermeknél az összehasonlítható időszak alatt nem tapasztaltak hasonló javulást az ízületekben, illetve testmagasság-növekedést. Az ezen vizsgálat, 13 és 18 év közötti gyermekek részvételével végzett kiterjesztéséből származó további adatok megerősítették a kezdeti eredményeket.

A Strensiq hatékonyságát számos további kisméretű vizsgálat is alátámasztotta. Egyes vizsgálatokban a hetente hatszori 1 mg/ttkg dózisu Strensiq-et is tanulmányozták.

Milyen kockázatokkal jár a Strensiq alkalmazása?

A Strensiq leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, eritéma (bőrpír), fájdalom a karokban és a lábokban, láz, ingerültség, az injekció beadási helyén jelentkező reakciók (például fájdalom, kiütés és viszketés) és véraláfutás. A Strensiq alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Strensiq forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Strensiq alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Az Ügynökség megjegyezte, hogy a hipofoszfátázia egy súlyos, életet veszélyeztető betegség, amelyre nem létezik jóváhagyott kezelés. Bár a fő vizsgálat kisméretű volt, és a Strensiq-et más kezeléssel vagy kezeletlen betegekkel közvetlenül nem hasonlította össze, az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy a csontokban megfigyelhető javulás és a nyilvánvaló növekedés releváns volt. Mivel a hipofoszfátázia egy rendkívül ritka betegség, a populációra vonatkozó adatok valószínűleg korlátozottak maradnak. A biztonságosság vonatkozásában az injekció beadási helyén fellépő reakciókat és az egyéb mellékhatásokat kezelhetőnek tartották az érvényben lévő ajánlások mellett.

A Strensiq forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Strensiq-ről. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Strensiq-vel kapcsolatban?

Mivel a Strensiq forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, a Strensiq-et forgalmazó vállalat létre fogja hozni a hipofoszfátáziaiban szenvedő betegek nyilvántartását, hogy információkat gyűjtsön a betegségről és a Strensiq hosszú távú biztonságosságáról és hatásosságáról.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Strensiq biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Ezenfelül a Strensiq-et forgalmazó vállalat oktatóanyagokat fog biztosítani a betegek és gondozók részére, hogy biztosítsák a gyógyszer helyes alkalmazását és minimalizálják a gyógykezelési hibák kockázatát. Ez az anyag tartalmaz egy öninjekciós útmutatót a betegek részére, valamint egy injekció beadási útmutatót a beteg gyermekek szülei, illetve gondozói részére.

A Strensiq biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Strensiq alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Strensiq alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Strensiq-vel kapcsolatos egyéb információ

2015. augusztus 28-án a Strensiq megkapta az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt.

További információ a Strensiq gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 10-2018.