



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*asfotase alfa*)

Sintesi di Strensiq e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Strensiq e per cosa si usa?

Strensiq è un medicinale usato nel trattamento a lungo termine di pazienti affetti da ipofosfatasi insorta nell'infanzia. L'ipofosfatasi è una rara malattia ereditaria delle ossa che può determinare perdita precoce dei denti, malformazioni ossee, frequenti fratture ossee e difficoltà respiratorie.

Strensiq contiene il principio attivo asfotase alfa.

L'ipofosfatasi è "rara" e Strensiq è stato definito come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 3 dicembre 2008. Maggiori informazioni sulla definizione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594.

Come si usa Strensiq?

Strensiq può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nella gestione di disturbi metabolici o delle ossa.

Il medicinale è disponibile in soluzione iniettabile. Viene somministrato mediante iniezione sottocutanea sei volte alla settimana (alla dose di 1 mg/kg di peso corporeo) o tre volte alla settimana (alla dose di 2 mg/kg di peso corporeo). Poiché la quantità somministrata dipende dal peso corporeo del singolo paziente, il medico dovrà aggiustare la dose con il variare di detto peso, soprattutto nei bambini in crescita.

Per maggiori informazioni sull'uso di Strensiq, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Strensiq?

L'enzima "fosfatasi alcalina non tessuto-specifica" (ALP) riveste un ruolo fondamentale nella formazione e nel mantenimento di ossa sane, oltre che nella gestione di calcio e fosfato nell'organismo. I pazienti affetti da ipofosfatasi non riescono a produrre una quantità sufficiente di enzima ALP funzionante e, pertanto, hanno un'ossatura debole. Asfotase alfa, il principio attivo di Strensiq, è una

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



versione dell'enzima ALP umano ed è usato in sostituzione, allo scopo di aumentare i livelli di ALP funzionante.

Quali benefici di Strensiq sono stati evidenziati negli studi?

Strensiq è stato oggetto di uno studio principale condotto su 13 bambini di età compresa fra i 6 e i 12 anni. Strensiq è stato somministrato alla dose di 2 mg/kg o di 3 mg/kg tre volte alla settimana, per 24 settimane. Il principale parametro dell'efficacia del medicinale era il miglioramento dell'aspetto delle articolazioni di polso e ginocchio, osservato tramite radiografia prima e dopo il trattamento con Strensiq. Le radiografie dei bambini trattati con Strensiq sono state confrontate anche con radiografie simili effettuate su 16 ragazzi non trattati con Strensiq ("controlli storici"). Lo studio, che considerava anche altri parametri dell'efficacia, quali la crescita in altezza, ha dimostrato che nei bambini trattati con Strensiq la struttura articolare era migliorata, come evidenziato dalle radiografie, e che la maggior parte dei pazienti appariva cresciuta in altezza. Nei controlli storici, non sono stati rilevati nella maggior parte dei pazienti miglioramenti analoghi a livello articolare o in termini di crescita in altezza in un lasso di tempo comparabile. Dati supplementari derivanti da un'estensione dello studio su ragazzi di età compresa tra i 13 e i 18 anni hanno confermato i risultati iniziali.

L'efficacia di Strensiq è stata, inoltre, comprovata in generale da numerosi altri studi di piccole dimensioni. Alcuni studi hanno anche esaminato la dose di 1 mg/kg di Strensiq somministrata sei volte alla settimana.

Quali sono i rischi associati a Strensiq?

Gli effetti indesiderati più comuni di Strensiq (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono cefalea, eritema (arrossamento della cute), dolore a braccia e gambe, febbre, irritabilità, reazioni in sede di iniezione (quali dolore, eruzione cutanea e prurito) e contusioni (lividi). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni di Strensiq, vedere il foglio illustrativo.

Perché Strensiq è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Strensiq sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

L'Agenzia ha osservato che l'ipofosfatasia è una malattia grave e pericolosa per la vita, per la quale non esiste alcun trattamento autorizzato. Sebbene lo studio principale sia stato di piccole dimensioni e non abbia direttamente messo a confronto Strensiq con un altro trattamento o con pazienti non trattati, l'Agenzia ha ritenuto che il miglioramento osservato a livello osseo e la crescita apparente fossero di notevole importanza. Dal momento che l'ipofosfatasia è una malattia estremamente rara, è probabile che i dati riferiti a questa popolazione rimangano limitati. Quanto alla sicurezza, le reazioni in sede di iniezione e gli altri effetti indesiderati sono stati considerati gestibili con le raccomandazioni esistenti.

Strensiq è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Strensiq a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Strensiq?

Poiché Strensiq è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Strensiq istituirà un registro di pazienti affetti da ipofosfatasia per raccogliere informazioni sulla malattia e sulla sicurezza ed efficacia di Strensiq a lungo termine.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Strensiq?

La ditta che commercializza Strensiq fornirà materiale educativo ai pazienti e alle persone che li assistono, per garantire che il medicinale sia usato correttamente e per ridurre al minimo il rischio di errori terapeutici. Tale materiale conterrà una guida all'autoiniezione per i pazienti, nonché una guida all'iniezione per i genitori o per coloro che si prendono cura di bambini affetti da questa condizione.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Strensiq sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Strensiq sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Strensiq sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Strensiq

Strensiq ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 28 agosto 2015.

Ulteriori informazioni su Strensiq sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 10-2018.