



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*asfotazė alfa*)

Strensiq apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Strensiq ir kam jis vartojamas?

Strensiq – tai ilgą laiką vartojamas vaistas, kuriuo gydomi hipofosfatazija sergantys pacientai, kuriems pirmieji šios ligos simptomai pasireiškė vaikystėje. Hipofosfatazija yra reta paveldima kaulų liga, dėl kurios gali anksti išskristi dantys, deformuotis ir dažnai lūžti kaulai ir pasireikšti kvėpavimo sunkumai.

Strensiq sudėtyje yra veikliosios medžiagos asfotazės alfa.

Hipofosfatazija laikoma reta, todėl 2008 m. gruodžio 3 d. Strensiq buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594.

Kaip vartoti Strensiq?

Strensiq galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi pradėti metabolizmo arba kaulų sutrikimų gydymo patirties turintis gydytojas.

Gaminamas šio vaisto injekcinis tirpalas. Jis leidžiamas po oda šešis kartus per savaitę (po 1 mg/kg kūno svorio) arba tris kartus per savaitę (po 2 mg/kg). Kadangi leidžiamo vaisto kiekis priklauso nuo kiekvieno paciento kūno svorio, gydytojas turės koreguoti vaisto dozę pagal paciento svorio pokyčius, ypač gydymas augančius vaikus.

Daugiau informacijos apie Strensiq vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Strensiq?

Kaulai formuojasi ir išlieka sveiki veikiami fermento „audiniui nespecifinės šarminės fosfatazės“ (ŠF), nuo kurio taip pat priklauso kalcio ir fosfato kiekis organizme. Hipofosfatazija sergantys pacientai turi nepakankamai normaliai veikiančios ŠF, todėl jų kaulai yra silpni. Veiklioji Strensiq medžiaga asfotazė alfa yra žmogaus ŠF fermento versija, kuri veikia kaip šio fermento pakaitalas, padidindamas normaliai veikiančios ŠF kiekį.



Kokia Strensiq nauda nustatyta tyrimų metu?

Strensiq buvo tiriamas viename pagrindiniame tyrime, kuriame dalyvavo 13 vaikų nuo 6 iki 12 metų. Pacientams 24 savaites tris kartus per savaitę buvo švirkščiami po 2 arba 3 mg Strensiq kilogramui kūno svorio. Pagrindinis vaisto veiksmingumo rodiklis buvo rentgenogramose matomas riešų ir kelių sąnarių būklės pagerėjimas po gydymo Strensiq, palyginti su jų būkle prieš gydymą. Strensiq gydytų vaikų rentgenogramos taip pat buvo lyginamos su panašiomis 16 vaikų, kurie nevartojo Strensiq, rentgenogramomis (vadinamaisiais istoriniais kontroliniais duomenimis). Šiame tyrime buvo vertinami ir kiti veiksmingumo rodikliai, kaip antai ūgio didėjimas. Šis tyrimas parodė, kad Strensiq gydytų vaikų sąnarių struktūra pagerėjo, kaip matyti iš jų rentgenogramų, ir dauguma iš jų, atrodo, paaugo. Istorinėse kontrolinėse grupėse per panašų laikotarpį daugumos vaikų sąnarių būklė nepagerėjo ir jie nepaaugo. Papildomi duomenys, surinkti pratęsus šį tyrimą su 13–18 metų vaikais, patvirtino pirminius rezultatus.

Strensiq veiksmingumą taip pat iš esmės patvirtino keli papildomi nedideli tyrimai. Atliekant kai kuriuos tyrimus, taip pat buvo vertinamas šešis kartus per savaitę vartojamos Strensiq 1 mg/kg dozės poveikis.

Kokia rizika susijusi su Strensiq vartojimu?

Dažniausias Strensiq šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas, eritema (odos paraudimas), rankų ir kojų skausmas, karščiavimas, dirglumas, reakcijos injekcijos vietoje (pvz., skausmas, išbėrimas ir niežėjimas) ir kraujosruva. Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų vartojant Strensiq sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Strensiq buvo registruotas ES?

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Strensiq nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Agentūra atkreipė dėmesį į tai, kad hipofosfatazija yra sunki, grėsmę gyvybei kelianti liga, kurios gydymui neįregistruota nė vieno vaisto. Nors pagrindinis tyrimas buvo nedidelis ir jo metu Strensiq poveikis nebuvo tiesiogiai lyginamas su kito vaisto poveikiu ar su pokyčiais juo negydomų pacientų grupėje, Agentūra laikėsi nuomonės, kad nustatytas kaulų būklės pagerėjimas ir akivaizdus augimas buvo svarbūs. Atsižvelgiant į tai, kad hipofosfatazija yra itin reta liga, tikėtina, kad šioje pacientų populiacijoje nepavyks surinkti daug duomenų. Dėl saugumo laikytasi nuomonės, kad reakcijas injekcijos vietoje ir kitus šalutinius reiškinius galima kontroliuoti, vadovaujantis nustatytomis rekomendacijomis.

Strensiq registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Strensiq. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Strensiq?

Kadangi Strensiq registruotas išimtinėmis sąlygomis, Strensiq prekiaujanti bendrovė sudarys hipofosfatazija sergančių pacientų registrą, kad surinktų informacijos apie šią ligą ir ilgalaikį Strensiq saugumą ir veiksmingumą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Strensiq vartojimą?

Be to, bendrovė aprūpins pacientus ir slaugytojus mokomąja medžiaga, kad užtikrintų tinkamą Strensiq vartojimą ir sumažintų gydymo klaidų pavojų. Šioje medžiagoje bus pateikti nurodymai pacientams, kaip susišvirkšti vaisto, taip pat šia liga sergančių vaikų tėvams ar juos slaugantiems asmenims skirti nurodymai, kaip atlikti injekciją.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Strensiq vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Strensiq vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Strensiq šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Strensiq

Strensiq įregistruotas visoje ES 2015 m. rugpjūčio 28 d.

Daugiau informacijos apie Strensiq rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2018-10.