



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*alfa-asfotāze*)

Strensiq pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Strensiq un kāpēc tās lieto?

Strensiq ir zāles, ko lieto ilgtermiņā, lai ārstētu pacientus ar bērnu vecumā sākušos hipofosfatāziju. Hipofosfatāzija ir reta, pārmantota kaulu slimība, kas var izraisīt agrīnu zobu izkrišanu, deformētus kaulus, biežus kaulu lūzumus un apgrūtinātu elpošanu.

Strensiq satur aktīvo vielu alfa-asfotāzi.

Hipofosfatāzija ir "reta", un 2008. gada 3. decembrī Strensiq tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594.

Kā lieto Strensiq?

Strensiq var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana jāuzsāk ārstam ar pieredzi vielmaiņas traucējumu vai kaulu bojājumu ārstēšanā.

Zāles ir pieejamas kā injekciju šķīdums. Tās tiek ievadītas ar zemādas injekciju sešas reizes nedēļā (deva ir 1 mg uz kilogramu ķermeņa masas) vai trīs reizes nedēļā (deva ir 2 mg/kg). Tā kā ievadītais daudzums ir atkarīgs no pacienta ķermeņa masas, mainoties pacienta svaram, jo īpaši augošiem bērniem, ārstam ir jāpielāgo deva.

Papildu informāciju par Strensiq lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā darbojas Strensiq?

Enzīma "audiem nespecifiskas sārmainās fosfatāzes" (ALP) funkcija ir veidot un uzturēt veselīgus kaulus, kā ar kontrolēt kalcija un fosfātu līmeni organismā. Pacientiem ar hipofosfatāziju nav pietiekams daudzums normāli funkcionējošas ALP, tāpēc viņu kauli kļūst vāji. Strensiq aktīvā viela alfa-asfotāze ir cilvēka ALP enzīma versija, un tā darbojas kā aizstājējs, tādējādi paaugstinot funkcionējošās ALP līmeni.



Kādi Strensiq ieguvumi atklāti pētījumos?

Strensiq tika pētītas vienā pamatpētījumā ar 13 bērniem vecumā no 6 līdz 12 gadiem. Pacienti 24 nedēļu laikā saņēma 2 mg/kg vai 3 mg/kg Strensiq trīs reizes nedēļā. Galvenais zāļu efektivitātes kritērijs bija plaukstu un ceļu locītavu rentgenizmeklējumu uzlabojums pacientiem pirms un pēc ārstēšanas ar Strensiq. Strensiq lietojušo bērnu rentgenuzņēumus arī salīdzināja ar līdzīgiem rentgenuzņēmumiem, kas tika veikti 16 bērniem, kuri nebija saņēmuši Strensiq ("vēsturiskā kontrole"). Pētījumā vērtēja arī citus efektivitātes rādītājus, piemēram, augšanu garumā. Šajā pētījumā konstatēja, ka Strensiq saņēmušiem bērniem bija uzlabojusies locītavu struktūra, ko apliecināja rentgenuzņēmumi, un vairums no viņiem bija kļuvuši garāki. Vēsturiskajās kontrolēs salīdzināmā laika periodā lielākajai daļai bērnu nebija līdzīga locītavu uzlabojuma vai garuma pieauguma. Papildu dati no šā pētījuma pagarinājuma, piedaloties 13 līdz 18 gadus veciem bērniem, apstiprināja sākotnējos rezultātus.

Vairākos mazos papildpētījumos iegūtie dati arī visumā apliecināja Strensiq efektivitāti. Dažos pētījumos vēl pētīja 1 mg/kg Strensiq devu, ko ievadīja sešas reizes nedēļā.

Kāds risks pastāv, lietojot Strensiq?

Visbiežāk novērotās Strensiq blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir galvassāpes, eritēma (ādas apsārtums), sāpes rokās un kājās, drudzis, uzbudināmība, reakcijas injekcijas vietā (piemēram, sāpes, izsitumi un nieze), kā arī sasitumi (zilumi). Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot Strensiq, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc Strensiq ir reģistrētas ES?

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot Strensiq, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un zāles var tikt reģistrētas lietošanai ES.

Aģentūra norādīja, ka hipofosfatāzija ir smaga un dzīvību apdraudoša slimība, kam nav reģistrētu ārstēšanas iespēju. Lai gan pamatpētījums bija neliels un tajā tieši nesalīdzināja Strensiq ar citām ārstēšanas iespējām vai ar neārstētiem pacientiem, aģentūra uzskatīja, ka novērotais kaulu uzlabojums un acīmredzamā augšana ir būtiski. Ņemot vērā to, ka hipofosfatāzija ir īpaši reta slimība, šīs populācijas dati visticamāk saglabāsies ierobežoti. Attiecībā uz drošumu reakcijas injekcijas vietā un citas blakusparādības tika uzskatītas par kontrolējamām, ja tiek ievēroti ieteikumi.

Strensiq ir reģistrētas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu dēļ nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par Strensiq. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par Strensiq vēl ir sagaidāma?

Tā kā Strensiq ir reģistrētas izņēmuma kārtā, uzņēmums, kas piedāvā tirgū Strensiq, izveidos hipofosfatāzijas pacientu reģistru, lai apkopotu informāciju par šo slimību un Strensiq ilgtermiņa drošumu un efektivitāti.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu un efektīvu Strensiq lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū Strensiq, pacientiem un viņu aprūpētājiem nodrošinās izglītojošus materiālus, lai garantētu šo zāļu pareizu lietošanu un mazinātu ārstēšanas kļūdu risku. Šajā materiālā būs iekļauti pašinjicēšanas norādījumi pacientiem, kā arī injicēšanas pamācība vecākiem vai aprūpētājiem, kuru bērniem ir šī slimība.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu Strensiq lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par Strensiq lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar Strensiq lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par Strensiq

Strensiq 2015. gada 28. augustā saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par Strensiq ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2018.10.