



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Strensiq (*asfotase alfa*)

Een overzicht van Strensiq en waarom het is geregistreerd in de EU

### **Wat is Strensiq en wanneer wordt het voorgeschreven?**

Strensiq is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de langdurige behandeling van patiënten met hypofosfatasia die tijdens de kinderjaren is begonnen. Hypofosfatasia is een zeldzame erfelijke botziekte die kan leiden tot voortijdig verlies van tanden, misvormde botten, frequente botbreuken en ademhalingsproblemen.

Strensiq bevat de werkzame stof asfotase alfa.

Hypofosfatasia is zeldzaam, en Strensiq werd op 3 december 2008 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel kan hier worden gevonden:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594).

### **Hoe wordt Strensiq gebruikt?**

Strensiq is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door een arts die ervaring heeft met de behandeling van stofwisselingsstoornissen of botaandoeningen.

Het middel is beschikbaar in de vorm van een oplossing voor injectie. Het middel wordt zesmaal per week (in een dosis van 1 mg per kilogram lichaamsgewicht) of driemaal per week (in een dosis van 2 mg/kg) toegediend via injectie onder de huid. Aangezien de dosering afhangt van het lichaamsgewicht van de patiënt, dient de arts de dosis aan te passen wanneer het gewicht van de patiënt verandert, vooral bij kinderen in de groei.

Voor meer informatie over het gebruik van Strensiq, zie de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker.

### **Hoe werkt Strensiq?**

Het enzym 'niet-weefsel-specifieke alkalische fosfatase' (ALP) speelt een belangrijke rol bij de vorming en handhaving van gezonde botten en de regulering van de concentraties calcium en fosfaat in het lichaam. Patiënten met hypofosfatasia kunnen niet genoeg functionerende ALP aanmaken, wat leidt tot



zwakke botten. Asfotase alfa, de werkzame stof in Strensiq, is een versie van het menselijke ALP-enzym en dient ter vervanging, waardoor de concentratie functionerende ALP stijgt.

## **Welke voordelen bleek Strensiq tijdens de studies te hebben?**

Strensiq is onderzocht in één hoofdstudie onder 13 kinderen in de leeftijd van 6 tot 12 jaar. Patiënten kregen gedurende 24 weken driemaal per week 2 mg/kg of 3 mg/kg Strensiq toegediend. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid van het geneesmiddel was de op röntgenopnamen zichtbare verbetering van de polsen en kniegewrichten vóór en na de behandeling met Strensiq. Röntgenopnamen van kinderen die Strensiq toegediend kregen, werden ook vergeleken met soortgelijke röntgenopnamen van 16 kinderen die geen Strensiq hadden gebruikt ('historische controlegroep'). In de studie werd ook gekeken naar andere graadmeters voor de werkzaamheid zoals toename in lichaamslengte. Uit deze studie bleek op basis van röntgenopnamen dat de gewrichtsstructuur bij kinderen die Strensiq toegediend kregen, verbeterd was en dat de meesten van hen leken te zijn gegroeid. In de historische controlegroep was tijdens een vergelijkbare periode bij de meeste kinderen geen sprake van een dergelijke verbetering in hun gewrichten of toename in lichaamslengte. Aanvullende gegevens uit een verlenging van deze studie bij kinderen van 13 tot 18 jaar oud bevestigden de initiële resultaten.

De werkzaamheid van Strensiq werd over het algemeen ook ondersteund door verschillende kleine aanvullende studies. In enkele van de studies werd ook gekeken naar de dosering van 1 mg/kg Strensiq zesmaal per week.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Strensiq in?**

De meest voorkomende bijwerkingen van Strensiq (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn hoofdpijn, erytheem (rood worden van de huid), pijn in armen en benen, koorts, prikkelbaarheid, reacties op de injectieplaats (zoals pijn, huiduitslag en jeuk) en contusie (blauwe plekken). Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Strensiq.

## **Waarom is Strensiq geregistreerd in de EU?**

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Strensiq groter zijn dan de risico's en dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Het Bureau merkte op dat hypofosfatasia een ernstige en levensbedreigende ziekte is waarvoor geen goedgekeurde behandeling beschikbaar is. Hoewel het een kleine hoofdstudie betrof waarin Strensiq niet rechtstreeks met een andere behandeling of met onbehandelde patiënten vergeleken werd, was het Bureau van mening dat de waargenomen verbetering in de botten en groei relevant was. Aangezien hypofosfatasia een uiterst zeldzame ziekte is, zullen de gegevens in deze populatie waarschijnlijk beperkt blijven. Wat betreft de veiligheid: reacties op de injectieplaats en andere bijwerkingen werden beheersbaar geacht indien de aanbevelingen worden gevolgd.

Strensiq is goedgekeurd onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Strensiq te verkrijgen. Het Bureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

## **Welke informatie wordt nog verwacht voor Strensiq?**

Aangezien aan Strensiq registratie onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, zal het bedrijf dat Strensiq in de handel brengt een register opzetten van patiënten met hypofosfatasia om informatie te verzamelen over de ziekte en over de veiligheid en werkzaamheid van Strensiq op lange termijn.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Strensiq te waarborgen?**

Het bedrijf dat Strensiq op de markt brengt, zal patiënten en zorgverleners voorlichtingsmateriaal verschaffen om ervoor te zorgen dat Strensiq op de juiste wijze wordt gebruikt en om het risico op medicatiefouten tot een minimum te beperken. Dit materiaal bevat een zelfinjectiehandleiding voor patiënten en een injectiehandleiding voor ouders of zorgverleners van kinderen met de aandoening.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Strensiq, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Strensiq continu gemonitord. Bijwerkingen waargenomen voor Strensiq worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

## **Overige informatie over Strensiq**

Strensiq heeft op 28 augustus 2015 een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen gekregen.

Meer informatie over Strensiq is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq)

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 10-2018.