



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*asfotaza alfa*)

Przegląd wiedzy na temat leku Strensiq i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Co to jest lek Strensiq i w jakim celu się go stosuje

Strensiq to lek stosowany w długoterminowym leczeniu pacjentów z hipofosfatazją, która rozpoczęła się w dzieciństwie. Hipofosfatazja jest rzadką, dziedziczną chorobą kości mogącą prowadzić do wczesnej utraty zębów, deformacji kości, częstych złamań kości i trudności z oddychaniem.

Lek Strensiq zawiera substancję czynną asfotazę alfa.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z hipofosfatazją choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 3 grudnia 2008 r. lek Strensiq uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594.

Jak stosować lek Strensiq

Lek Strensiq wydawany jest wyłącznie na receptę, a leczenie powinien rozpoczynać lekarz z doświadczeniem w leczeniu zaburzeń metabolicznych lub kostnych.

Lek jest dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań. Podaje się go w postaci wstrzyknięcia podskórnego sześć razy w tygodniu (w dawce 1 mg/kg masy ciała) lub trzy razy w tygodniu (w dawce 2 mg/kg masy ciała). Ponieważ dawka, którą należy podać, zależy od masy ciała pacjenta, lekarz będzie musiał ją dostosować wraz ze zmianami masy ciała, zwłaszcza u dorastających dzieci.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Strensiq znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Strensiq

Enzym „tkankowo niespecyficzna fosfataza alkaliczna” (ALP) odgrywa kluczową rolę w budowie i utrzymaniu zdrowych kości oraz zarządzaniu poziomem wapnia i fosforanów w organizmie. Organizm pacjentów z hipofosfatazją nie jest w stanie wytworzyć odpowiedniej ilości poprawnie funkcjonującej ALP, co prowadzi do osłabienia kości. Substancja czynna leku Strensiq, asfotaza alfa, jest odmianą



ludzkiego enzymu ALP i zastępuje wadliwy enzym, zwiększając tym samym stężenie aktywnego enzymu ALP.

Korzyści ze stosowania leku Strensiq wykazane w badaniach

Lek Strensiq oceniano w jednym badaniu głównym z udziałem 13 dzieci w wieku od 6 do 12 lat. Przez 24 tygodnie podawano pacjentom 2 mg/kg lub 3 mg/kg leku Strensiq trzy razy w tygodniu. Głównym kryterium oceny skuteczności leczenia była poprawa stanu nadgarstków i stawów kolanowych widoczna w porównaniu zdjęć rentgenowskich przed zastosowaniem leku Strensiq i po nim. Wyniki badań rentgenowskich wykonanych u dzieci, którym podawano lek Strensiq, porównywano również z podobnymi badaniami rentgenowskimi przeprowadzonymi u 16 dzieci, którym nie podawano leku Strensiq („historyczna grupa kontrolna”). W badaniu analizowano również inne kryteria oceny skuteczności, takie jak zwiększenie wzrostu. W badaniu tym wykazano, że u dzieci, którym podawano lek Strensiq, nastąpiła widoczna na zdjęciach rentgenowskich poprawa stanu stawów oraz zwiększenie wzrostu u większości dzieci. U większości dzieci w historycznej grupie kontrolnej nie nastąpiła podobna poprawa stanu stawów ani zwiększenie wzrostu w porównywalnym czasie. Dodatkowe dane z przedłużenia tego badania z udziałem dzieci w wieku od 13 do 18 lat potwierdziły wstępne wyniki.

Skuteczność leku Strensiq została zasadniczo poparta kilkoma dodatkowymi badaniami o mniejszej skali. W niektórych badaniach oceniano działanie dawki 1 mg/kg leku Strensiq podawanej sześć razy w tygodniu.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Strensiq

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Strensiq (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to: ból głowy, rumień (zaczerwienienie skóry), ból ramion i nóg, gorączka, drażliwość, reakcje w miejscu wstrzyknięcia (takie jak ból, wysypka i swędzenie) i kontuzja (siniaczenie). Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Strensiq znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Strensiq w UE

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Strensiq przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Agencja stwierdziła, że hipofosfatazja jest poważną, zagrażającą życiu chorobą i nie ma leku zatwierdzonego do stosowania w celu jej leczenia. Choć skala badania głównego była niewielka, a leku Strensiq nie porównywano w nim bezpośrednio z inną metodą leczenia ani z nieleczonymi pacjentami, EMA uznała poprawę stanu kości i widoczne zwiększenie wzrostu za istotne. Biorąc pod uwagę fakt, że hipofosfatazja jest niezwykle rzadką chorobą, ilość danych dla tej grupy pacjentów prawdopodobnie pozostanie ograniczona. W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania reakcje w miejscu wkłucia i inne działania niepożądane uznano za możliwe do kontrolowania, jeżeli są przestrzegane zalecenia dotyczące stosowania leku.

Lek Strensiq dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Strensiq z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Strensiq

W związku z tym, że lek Strensiq uzyskał dopuszczenie do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca lek Strensiq do obrotu będzie prowadzić rejestr pacjentów z hipofosfatazją w celu zbierania informacji na temat choroby oraz bezpieczeństwa długoterminowego stosowania i skuteczności leku Strensiq.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Strensiq

Firma, która wprowadza lek Strensiq do obrotu, dostarczy materiały edukacyjne pacjentom i ich opiekunom w celu zagwarantowania prawidłowego stosowania leku Strensiq i zminimalizowania ryzyka popełnienia błędów w leczeniu. Materiały te będą zawierać przewodnik dotyczący samodzielnego wstrzykiwania dla pacjentów, jak również przewodnik dotyczący wstrzykiwania dla rodziców lub opiekunów dzieci z tą chorobą.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Strensiq w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Strensiq są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Strensiq są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Strensiq

W dniu 28 sierpnia 2015 r. lek Strensiq otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej Unii Europejskiej.

Dalsze informacje na temat leku Strensiq znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ziextenzo.

Data ostatniej aktualizacji: 10.2018.