



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*asfotase alfa*)

Um resumo sobre Strensiq e porque está autorizado na UE

O que é Strensiq e para que é utilizado?

Strensiq é um medicamento utilizado no tratamento de longa duração de doentes com hipofosfatase de início na infância. A hipofosfatase é uma doença óssea hereditária rara que pode causar a perda precoce dos dentes, malformações ósseas, fraturas ósseas frequentes e dificuldades respiratórias.

Strensiq contém a substância ativa asfotase alfa.

A hipofosfatase é uma doença rara, e Strensiq foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 3 de dezembro de 2008. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594.

Como se utiliza Strensiq?

Strensiq só pode ser obtido mediante receita médica, e o tratamento deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento de doentes com doenças metabólicas ou relacionadas com os ossos.

O medicamento está disponível na forma de solução injetável. É administrado por injeção sob a pele seis vezes por semana (numa dose de 1 mg por quilograma de peso corporal) ou três vezes por semana (numa dose de 2 mg/kg). Uma vez que a quantidade administrada depende do peso corporal do doente, o médico irá necessitar de ajustar a dose à medida que o peso do doente se for alterando, particularmente em crianças em crescimento.

Para mais informações sobre a utilização de Strensiq, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Strensiq?

A enzima «fosfatase alcalina não específica de tecidos» (ALP) desempenha um papel fundamental na criação e manutenção de ossos saudáveis e na gestão do cálcio e do fosfato no organismo. Os doentes com hipofosfatase não conseguem produzir quantidades suficientes de ALP com função normal, o que provoca ossos fracos. A asfotase alfa, a substância ativa de Strensiq, é uma cópia modificada da

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



enzima ALP humana, e funciona como um substituto da enzima, aumentando assim os níveis de ALP com função normal.

Quais os benefícios demonstrados por Strensiq durante os estudos?

Strensiq foi estudado num estudo principal que incluiu 13 crianças com idades compreendidas entre os 6 e os 12 anos. Os doentes receberam 2 mg/kg ou 3 mg/kg de Strensiq, três vezes por semana, durante 24 semanas. O principal parâmetro de eficácia do medicamento foi a melhoria nas articulações dos pulsos e joelhos dos doentes observada nas radiografias, antes e após o tratamento com Strensiq. As radiografias de crianças que receberam Strensiq também foram comparadas com radiografias semelhantes disponíveis de 16 crianças que não tinham recebido Strensiq («controlos históricos»). O estudo também analisou outros parâmetros de eficácia, como o ganho de altura. Este estudo demonstrou que as crianças que receberam Strensiq apresentaram uma melhoria na estrutura das articulações, como demonstrado pelas radiografias, e a maioria aparentou um ganho de altura. Nos controlos históricos, a maioria das crianças não apresentou melhorias semelhantes nas articulações ou ganho de altura durante um período de tempo comparável. Os dados adicionais de uma extensão deste estudo em crianças com 13 a 18 anos de idade confirmaram os resultados iniciais.

A eficácia de Strensiq foi igualmente suportada em geral por vários pequenos estudos adicionais. Alguns estudos também analisaram a dose de 1 mg/kg de Strensiq administrada seis vezes por semana.

Quais são os riscos associados a Strensiq?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Strensiq (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são dores de cabeça, eritema (vermelhidão da pele), dores nos braços e pernas, febre, irritabilidade, reações no local da injeção (tais como dor, erupção cutânea e comichão) e contusão (nódoa negra). Para a lista completa das restrições de utilização e dos efeitos secundários comunicados relativamente a Strensiq, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Strensiq autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Strensiq são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

A Agência constatou que a hipofosfatasia é uma doença grave e potencialmente fatal, para a qual não existe nenhum tratamento autorizado. Embora o estudo principal fosse pequeno e não comparasse diretamente Strensiq com outro tratamento ou com doentes não tratados, a Agência considerou que a melhoria observada nos ossos e o aparente crescimento eram relevantes. Considerando que a hipofosfatasia é uma doença extremamente rara, os dados nesta população continuarão provavelmente a ser limitados. Em termos de segurança, as reações no local da injeção e os outros efeitos secundários foram considerados controláveis com as recomendações existentes.

Strensiq foi autorizado em circunstâncias excepcionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Strensiq devido à raridade da doença. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre Strensiq?

Dado que Strensiq foi autorizado em circunstâncias excepcionais, a empresa que comercializa Strensiq irá criar um registo de doentes com hipofosfatasia para recolher informações sobre a doença e sobre a eficácia e segurança a longo prazo do medicamento.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Strensiq?

A empresa que comercializa Strensiq irá fornecer aos doentes e aos prestadores de cuidados material informativo para garantir que o medicamento é utilizado corretamente e para minimizar o risco de erros de medicação. Este material incluirá um guia de autoadministração para os doentes, assim como um guia de administração para os pais ou prestadores de cuidados de crianças com a doença.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Strensiq.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Strensiq são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Strensiq são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Strensiq

A 28 de agosto de 2015, Strensiq recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Mais informações sobre Strensiq podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq

Este resumo foi atualizado pela última vez em 10-2018.