



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Strensiq (*asfotază alfa*)

O prezentare generală a Strensiq și de ce este autorizat acest medicament în UE

### Ce este Strensiq și pentru ce se utilizează?

Strensiq este un medicament folosit pentru tratamentul pe termen lung la pacienții cu hipofosfatazie cu debut în copilărie. Hipofosfatazia este o boală genetică rară a oaselor, care poate duce la pierderea prematură a dinților, oase malformate, fracturi osoase frecvente și dificultăți de respirație.

Strensiq conține substanța activă asfotază alfa.

Hipofosfatazia este rară, iar Strensiq a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 3 decembrie 2008. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate ca orfane pot fi găsite aici: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594).

### Cum se utilizează Strensiq?

Strensiq se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat de un medic cu experiență în tratarea tulburărilor metabolice sau osoase.

Medicamentul este disponibil sub formă de soluție injectabilă. Se administrează prin injecție sub piele fie de șase ori pe săptămână (într-o doză de 1 mg pe kilogram de greutate corporală), fie de trei ori pe săptămână (într-o doză de 2 mg/kg). Deoarece cantitatea administrată depinde de greutatea corporală a pacientului, medicul va trebui să ajusteze doza pe măsură ce greutatea corporală a acestuia se modifică, mai ales la copiii în creștere.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Strensiq, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

### Cum acționează Strensiq?

Enzima „fosfatază alcalină nespecifică țesutului” (ALP) joacă un rol esențial în formarea oaselor și menținerea sănătății acestora, precum și în gestionarea calciului și fosforului din organism. Pacienții care suferă de hipofosfatazie nu pot produce suficiente enzime ALP funcționale, ceea ce duce la



slăbirea oaselor. Asfotaza alfa, substanța activă din Strensiq, este o versiune a enzimei umane ALP și servește ca înlocuitor, mărind astfel nivelurile de ALP funcționale.

## **Ce beneficii a prezentat Strensiq pe parcursul studiilor?**

Strensiq a fost analizat într-un studiu principal care a cuprins 13 copii cu vârste între 6 și 12 ani. Pacienților li s-a administrat Strensiq în doză de 2 mg/kg sau de 3 mg/kg de trei ori pe săptămână, timp de 24 de săptămâni. Indicatorul principal al eficacității medicamentului a fost îmbunătățirea la radiografie a aspectului încheieturilor mâinilor și genunchilor înainte și după tratamentul cu Strensiq. Radiografiile copiilor cărora li s-a administrat Strensiq au fost, de asemenea, comparate cu radiografii similare disponibile de la 16 copii cărora nu li se administrase Strensiq („controale anterioare”). Studiul a analizat și alți indicatori ai eficacității, cum ar fi creșterea în înălțime. Studiul a demonstrat că la copiii cărora li s-a administrat Strensiq s-a constatat o îmbunătățire la nivelul structurii articulațiilor, așa cum rezultă din radiografii, și majoritatea au părut să crească în înălțime. La controalele anterioare, majoritatea copiilor nu au prezentat îmbunătățiri similare ale încheieturilor mâinilor și genunchilor și nu au crescut în înălțime într-o perioadă comparabilă de timp. Datele suplimentare obținute dintr-o extensie a acestui studiu la adolescenți cu vârsta între 13 și 18 ani au confirmat rezultatele inițiale.

Eficacitatea Strensiq a fost susținută în general și de mai multe studii mici suplimentare. Unele studii au analizat și doza de Strensiq de 1 mg/kg administrată de șase ori pe săptămână.

## **Care sunt riscurile asociate cu Strensiq?**

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Strensiq (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri de cap, eritem (înroșirea pielii), dureri la nivelul brațelor și picioarelor, febră, iritabilitate, reacții la locul injectării (precum durere, erupție pe piele și mâncărime) și contuzii (vânătăi). Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Strensiq, citiți prospectul.

## **De ce a fost autorizat Strensiq în UE?**

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Strensiq sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Agenția a constatat că hipofosfatazia este o boală gravă care pune viața în pericol și pentru care nu există niciun tratament autorizat. Deși studiul principal a fost mic și nu a comparat direct Strensiq cu alt tratament sau cu pacienți netratați, agenția a considerat că îmbunătățirea observată la nivelul oaselor și creșterea vizibilă au fost relevante. Având în vedere că hipofosfatazia este o boală extrem de rară, datele cu privire la această populație vor rămâne probabil limitate. În ceea ce privește siguranța, s-a considerat că reacțiile la locul injectării și alte reacții adverse sunt gestionabile cu recomandările existente.

Strensiq a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Strensiq. În fiecare an, agenția va analiza orice informație nou apărută, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

## **Ce informații se așteaptă în continuare despre Strensiq?**

Având în vedere că Strensiq a fost autorizat în circumstanțe excepționale, compania care comercializează Strensiq va crea un registru al pacienților cu hipofosfatazie pentru a culege informații cu privire la boală și la siguranța și eficacitatea pe termen lung ale Strensiq.

## **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Strensiq?**

Compania care comercializează Strensiq va oferi pacienților și îngrijitorilor materiale educaționale pentru a se asigura că medicamentul se folosește corect și pentru a reduce la minimum riscul erorilor de medicație. Acest material va cuprinde un ghid de autoinjectare pentru pacienți, precum și un ghid de injectare pentru părinții sau îngrijitorii copiilor care suferă de această boală.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Strensiq, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Strensiq sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Strensiq sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

## **Alte informații despre Strensiq**

Strensiq a primit o autorizație de punere pe piață validă pe întreg teritoriul UE la 28 august 2015.

Informații suplimentare cu privire la Strensiq sunt disponibile pe site-ul agenției:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq).

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 10-2018.