



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Strensiq (*asfotáza alfa*)

Prehľad o lieku Strensiq a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Strensiq a na čo sa používa?

Strensiq je liek používaný na dlhodobé liečenie pacientov s hypofosfatázou, ktorá sa začala v detstve. Hypofosfatázia je zriedkavé dedičné ochorenie kostí, ktoré môže viesť k predčasnému vypadávaniu zubov, znetvoreniu kostí, častým zlomeninám kostí a problémom s dýchaním.

Obsahuje liečivo asfotázu alfa.

Hypofosfatázia je zriedkavá, a preto bol liek Strensiq dňa 3. decembra 2008 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia („orphan medicine“). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594).

### Ako sa liek Strensiq užíva?

Liek Strensiq je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou metabolických ochorení alebo ochorení kostí.

Liek je dostupný vo forme injekčného roztoku. Podáva sa injekčne pod kožu buď šesťkrát za týždeň (v dávke 1 mg na kilogram telesnej hmotnosti), alebo trikrát za týždeň (v dávke 2 mg/kg). Podávané množstvo závisí od telesnej hmotnosti pacienta, lekár preto musí upravovať dávku podľa zmeny hmotnosti pacienta, hlavne v prípade rastúcich detí.

Viac informácií o používaní lieku Strensiq si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

### Akým spôsobom liek Strensiq účinkuje?

Enzým s názvom tkanivovo nešpecifická alkalická fosfatáza (ALP) hrá kľúčovú úlohu pri vytváraní a udržiavaní zdravých kostí a regulácii vápnika a fosforečnanov v tele. Pacienti trpiaci hypofosfatázou nedokážu produkovať dostatok funkčného enzýmu ALP, čo spôsobuje, že ich kosti sú slabé. Asfotáza alfa, liečivo lieku Strensiq, je verziou ľudského enzýmu ALP a slúži ako náhrada, čím zvyšuje hladinu funkčného enzýmu ALP.



## **Aké prínosy lieku Strensiq boli preukázané v štúdiách?**

Liek Strensiq sa skúmal v jednej hlavnej štúdii, do ktorej bolo zapojených 13 detí vo veku od 6 do 12 rokov. Pacientom sa podávali 2 mg/kg alebo 3 mg/kg lieku Strensiq trikrát za týždeň počas 24 týždňov. Hlavným meradlom účinnosti lieku bolo zlepšenie vzhľadu röntgenových snímok kĺbov zápästia a kolena pred a po liečbe liekom Strensiq. Röntgenové snímky detí užívajúcich liek sa porovnávali aj s podobnými röntgenovými snímkami 16 detí, ktoré neužívali liek Strensiq (historická kontrolná skupina). V štúdii sa sledovali aj ďalšie meradlá účinnosti, ako je nárast výšky. V tejto štúdii sa zistilo, že v prípade detí užívajúcich liek Strensiq sa zlepšila štruktúra kĺbov, ako sa ukázalo na röntgenových snímkach, a zdalo sa, že väčšina z nich vyrástla. V historickej kontrolnej skupine sa podobné zlepšenie štruktúry kĺbov alebo rast počas porovnateľného časového obdobia nepozoroval. Ďalšie údaje z rozšírenia tejto štúdie u detí vo veku od 13 do 18 rokov potvrdili prvotné výsledky.

Účinnosť lieku Strensiq všeobecne podporilo aj niekoľko ďalších menších štúdií. V niektorých štúdiách sa sledovala aj dávka 1 mg/kg lieku Strensiq podávaná šesťkrát za týždeň.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Strensiq?**

Najčastejšími vedľajšími účinkami lieku Strensiq (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú bolesti hlavy, erytém (začervenanie pokožky), bolesť v ramenách a nohách, horúčka, dráždivosť, reakcie v mieste vpichu injekcie (ako je bolesť, vyrážka a svrbenie) a kontúzia (tvorba modrín). Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení pri používaní lieku Strensiq sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo bol liek Strensiq povolený v EÚ?**

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Strensiq sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Agentúra uviedla, že hypofosfatáza je závažné ochorenie ohrozujúce život, na ktoré nie je schválená žiadna liečba. Aj keď bola hlavná štúdia malá a liek Strensiq sa v nej neporovnával priamo s inou liečbou ani s neliečenými pacientmi, agentúra usúdila, že zlepšenie zistené v kostiach a zjavný rast boli významné. Vzhľadom na to, že hypofosfatáza je mimoriadne zriedkavé ochorenie, je pravdepodobné, že údaje pre túto skupinu budú aj naďalej obmedzené. Čo sa týka bezpečnosti, reakcie v mieste vpichu injekcie a ďalšie vedľajšie účinky sa s uvedenými odporúčaniami považovali za zvládnuteľné.

Liek Strensiq bol povolený za mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Strensiq. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

## **Aké informácie o lieku Strensiq dosiaľ neboli predložené?**

Keďže liek Strensiq bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek Strensiq uvádza na trh, založí register pacientov s hypofosfatázou s cieľom zhromažďovať informácie o ochorení a dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku Strensiq.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Strensiq?**

Spoločnosť, ktorá liek Strensiq uvádza na trh, poskytne pacientom a opatrovateľom vzdelávacie materiály s cieľom zabezpečiť, aby sa liek Strensiq používal správne a aby sa minimalizovalo riziko chýb v medikácii. Tento materiál bude obsahovať návod pre pacientov na samostatné podanie injekcie, ako aj návod pre rodičov a opatrovateľov na podanie injekcie deťom s ochorením.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Strensiq boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o užívaní lieku Strensiq sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Strensiq sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Strensiq**

Lieku Strensiq bolo dňa 28. augusta 2015 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Strensiq sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 10-2018