



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*asfotaza alfa*)

Pregled zdravila Strensiq in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Strensiq in za kaj se uporablja?

Strensiq je zdravilo, ki se uporablja za dolgotrajno zdravljenje bolnikov s hipofosfatazijo, ki se je pojavila v otroštvu. Hipofosfatazija je redka dedna bolezen kosti, ki lahko povzroči zgodnjo izgubo zob, nepravilno oblikovane kosti, pogoste zlome kosti in težave z dihanjem.

Zdravilo Strensiq vsebuje učinkovino asfotaza alfa.

Bolezen hipofosfatazija je redka, zato je bilo zdravilo Strensiq 3. decembra 2008 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacijeglede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: <https://www.ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594>.

Kako se zdravilo Strensiq uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Strensiq je le na recept, zdravljenje pa mora uvesti zdravnik z izkušnjami z zdravljenjem presnovnih ali kostnih bolezni.

Na voljo je v obliki raztopine za injiciranje. Daje se z injiciranjem pod kožo šestkrat na teden (v odmerku 1 mg na kilogram telesne mase) ali trikrat na teden (v odmerku 2 mg/kg). Ker je uporabljena količina odvisna od telesne mase bolnika, bo zdravnik moral odmerek prilagoditi, ko se bo spremenila bolnikova telesna masa, predvsem pri rastočih otrocih.

Za več informacij glede uporabe zdravila Strensiq glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Strensiq deluje?

Encim „za tkivo nespecifična alkalna fosfataza“ (ALP) ima ključno vlogo pri ustvarjanju in ohranjanju zdravih kosti, saj uravnava kalcij in fosfate v telesu. Bolniki s hipofosfatazijo ne morejo proizvesti dovolj delujoče ALP, kar povzroča šibke kosti. Asfotaza alfa, učinkovina v zdravilu Strensiq, je različica humanega encima ALP in deluje kot nadomestek, kar poviša ravni delujoče ALP.



Kakšne koristi je zdravilo Strensiq izkazalo v študijah?

Zdravilo Strensiq so proučevali v eni glavni študiji, ki je vključevala 13 otrok, starih od 6 do 12 let. Bolniki so prejeli zdravilo Strensiq v odmerku 2 mg/kg ali 3 mg/kg trikrat na teden v obdobju 24 tednov. Glavno merilo učinkovitosti zdravila je bilo izboljšanje rentgenskega videza zapetnih in kolenskih sklepov pred zdravljenjem z zdravilom Strensiq in po njem. Rentgenske slike otrok, ki so prejeli zdravilo Strensiq, so primerjali s podobnimi rentgenskimi slikami 16 otrok, ki niso prejeli zdravila Strensiq („pretekli kontrolni podatki“). V študiji so proučevali tudi druga merila učinkovitosti, kot je telesna rast. Ta študija je pokazala, da se je otrokom, ki so prejeli zdravilo Strensiq, izboljšala struktura sklepov, kar so dokazali z rentgenskimi slikami, večina pa je pridobila tudi na telesni višini. Pretekli kontrolni podatki so pokazali, da večina otrok ni imela podobnih izboljšanj v sklepih ali pridobivanju telesne višine v primerljivem časovnem obdobju. Dodatni podatki iz razširitev te študije, ki je vključevala otroke, stare od 13 do 18 let, so potrdili prvotne rezultate.

Učinkovitost zdravila Strensiq je na splošno podprlo več dodatnih majhnih študij. V nekaterih od njih so proučevali tudi zdravilo Strensiq v odmerku 1 mg/kg, dano šestkrat na teden.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Strensiq?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Strensiq (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 bolniku od 10) so glavobol, eritem (pordela koža), bolečina v rokah in nogah, povišana telesna temperatura, razdražljivost, reakcije na mestu injiciranja (kot so bolečina, izpuščaji in srbenje) in kontuzija (podplutba). Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Strensiq glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Strensiq odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Strensiq večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Agencija je upoštevala, da je hipofosfatazija resna in smrtno nevarna bolezen, za katero ni odobreno nobeno zdravljenje. Čeprav je bila glavna študija majhna in z njo niso neposredno primerjali zdravila Strensiq z drugo obliko zdravljenja ali nezdravljenimi bolniki, je agencija menila, da je bilo izboljšanje, ki so ga opazili pri kosteh in pridobivanju telesne višine, pomembno. Ker je hipofosfatazija izjemno redka bolezen, bodo podatki pri tej skupini bolnikov verjetno ostali omejeni. Z varnostnega vidika so bili reakcije na mestu injiciranja in drugi neželeni učinki obvladljivi ob upoštevanju obstoječih priporočil.

Zdravilo Strensiq je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Strensiq še pričakujemo?

Ker je zdravilo Strensiq pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo podjetje, ki ga trži, vzpostavilo register bolnikov s hipofosfatazijo, s pomočjo katerega bo zbiralo podatke o bolezni in dolgotrajni varnosti ter učinkovitosti zdravila Strensiq.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Strensiq?

Podjetje, ki trži zdravilo Strensiq, bo za bolnike in negovalce pripravilo izobraževalno gradivo, ki bo zagotavljalo, da se zdravilo uporablja pravilno, in zmanjšalo tveganje za napake pri uporabi zdravila. To gradivo bo vključevalo navodila za samoinjiciranje, namenjena bolnikom, in navodila za injiciranje, namenjena staršem in negovalcem otrok s to boleznijo.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Strensiq upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Strensiq stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Strensiq, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Strensiq

Za zdravilo Strensiq je bilo 28. avgusta 2015 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Več informacij o zdravilu Strensiq je na voljo na spletni strani agencije:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 10-2018.