



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*asfotas alfa*)

Sammanfattning av Strensiq och varför det är godkänt inom EU

Vad är Strensiq och vad används det för?

Strensiq är ett läkemedel för långtidsbehandling av patienter med hypofosfatasi som startade i barndomen. Hypofosfatasi är en sällsynt ärftlig skelettsjukdom som kan leda till tidig tandförlust, missbildat skelett, ofta förekommande benbrott samt andningssvårigheter.

Strensiq innehåller den aktiva substansen asfotas alfa.

Hypofosfatasi är sällsynt och Strensiq klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 3 december 2008. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594.

Hur används Strensiq?

Strensiq är receptbelagt och behandling ska sättas in av läkare med erfarenhet av behandling av metabola sjukdomar eller skelettsjukdomar.

Läkemedlet finns som en injektionsvätska, lösning. Det ges genom injektion under huden antingen sex gånger i veckan (i en dos på 1 mg per kg kroppsvikt) eller tre gånger i veckan (i en dos på 2 mg/kg). Eftersom patientens kroppsvikt avgör vilken dos som ges kommer läkaren att justera dosen efter patientens viktförändringar, särskilt hos växande barn.

För mer information om hur du använder Strensiq, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Strensiq?

Enzymet "vävnadsospecifikt alkaliskt fosfatas" (ALP) har en avgörande roll när det gäller att skapa och bevara ett friskt skelett och att hantera kalcium och fosfat i kroppen. Patienter med hypofosfatasi kan inte producera tillräckligt med verksamt ALP, vilket leder till ett svagt skelett. Asfotas alfa, den aktiva substansen i Strensiq, är en version av det mänskliga ALP-enzymet och tjänar som en ersättning och höjer därigenom halterna av verksamt ALP.

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



Vilka fördelar med Strensiq har visats i studierna?

Strensiq har undersökts i en huvudstudie på 13 barn i åldern 6–12 år. Patienterna fick antingen 2 mg/kg eller 3 mg/kg Strensiq tre gånger i veckan under 24 veckor. Huvudmålet på läkemedlets effekt var förbättringen på röntgenbilder av handleder och knäleder före och efter behandling med Strensiq. Röntgenbilder av barn som fick Strensiq jämfördes också med liknande röntgenbilder från 16 barn som inte hade fått Strensiq ("historiska kontroller"). Studien undersökte även andra mått på effekt såsom längdtillväxt. Denna studie visade att barn som fick Strensiq fick en förbättrad ledstruktur som var synlig på röntgenbilder och att de flesta av dem verkade öka i längd. De flesta av barnen i de historiska kontrollerna upplevde ingen liknande förbättring i sina leder eller ökning i längd under en jämförbar tidsperiod. Kompletterande data från en utvidgning av denna studie till barn i åldern 13–18 år bekräftade de första resultaten.

Strensiqs effekt fick även allmänt stöd av flera kompletterande små studier. Vissa av studierna undersökte även dosen på 1 mg/kg Strensiq sex gånger i veckan.

Vilka är riskerna med Strensiq?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Strensiq (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är huvudvärk, erytem (hudrodnad), smärta i armar och ben, feber, irritabilitet, reaktioner vid injektionsstället (såsom smärta, utslag och klåda) samt blåmärken. En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Strensiq finns i bipacksedeln.

Varför är Strensiq godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att fördelarna med Strensiq är större än riskerna och att Strensiq skulle godkännas för försäljning i EU.

Myndigheten noterade att hypofosfatasi är en allvarlig och livshotande sjukdom som saknar godkänd behandling. Även om huvudstudien var liten och inte direkt jämförde Strensiq med annan behandling eller med obehandlade patienter ansåg myndigheten att den förbättring som sågs i skelettet och den tydliga tillväxten var relevanta. Med tanke på att hypofosfatasi är en extremt sällsynt sjukdom kommer uppgifterna i denna population troligen fortsätta att vara begränsade. Vad gäller säkerheten ansågs reaktioner vid injektionsstället och övriga biverkningar vara hanterbara med befintliga rekommendationer.

Strensiq har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Strensiq eftersom sjukdomen är sällsynt. Läkemedelsmyndigheten går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Strensiq saknas för närvarande?

Eftersom Strensiq har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall" ska företaget som marknadsför Strensiq upprätta ett register över patienter med hypofosfatasi för att samla in information om sjukdomen och om den långsiktiga säkerheten och effekten av Strensiq.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Strensiq?

Företaget som marknadsför Strensiq kommer att förse patienter och vårdare med utbildningsmaterial för att säkerställa att läkemedlet används korrekt och minimera risken för medicineringsfel. Detta

material kommer både att innefatta patientanvisningar för självinjicering och anvisningar för självinjicering riktade till föräldrar eller vårdare av barn med sjukdomen.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Strensiq har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Strensiq kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Strensiq utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Strensiq

Den 28 augusti 2015 beviljades Strensiq ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Strensiq finns på EMA:s webbplats
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq

Denna sammanfattning uppdaterades senast 10-2018.