



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*asfotase alfa*)

Aperçu de Strensiq et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Strensiq et dans quel cas est-il utilisé?

Strensiq est un médicament utilisé à long terme pour le traitement des patients atteints d'une hypophosphatasie ayant débuté dans l'enfance. L'hypophosphatasie est une maladie héréditaire rare qui touche les os et peut entraîner une perte prématurée des dents, des os malformés, des fractures osseuses fréquentes, et des difficultés à respirer.

Strensiq contient la substance active asfotase alfa.

L'hypophosphatasie est rare et Strensiq a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 3 décembre 2008. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594.

Comment Strensiq est-il utilisé?

Strensiq n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré par un médecin ayant l'expérience de la prise en charge des maladies métaboliques ou osseuses.

Le médicament est disponible sous la forme d'une solution injectable. Il est administré par injection sous la peau soit six fois par semaine (à une dose de 1 mg par kilogramme de poids corporel), soit trois fois par semaine (à une dose de 2 mg/kg). Étant donné que la quantité administrée dépend du poids du patient, le médecin devra ajuster la dose en fonction des changements de poids du patient, en particulier chez les enfants en pleine croissance.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Strensiq, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Strensiq agit-il?

L'enzyme «phosphatase alcaline tissulaire non spécifique» (ALP) joue un rôle essentiel dans la formation et le maintien des os en bonne santé, et le contrôle du calcium et du phosphate dans le corps. Les patients atteints d'hypophosphatasie ne peuvent produire suffisamment d'ALP fonctionnelle,

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



ce qui entraîne une faiblesse osseuse. L'asfotase alfa, la substance active de Strensiq, est une version de l'enzyme ALP humaine et sert de substitut, augmentant ainsi les taux d'ALP fonctionnelle.

Quels sont les bénéfices de Strensiq démontrés au cours des études?

Strensiq a fait l'objet d'une étude principale auprès de 13 enfants âgés de 6 à 12 ans. Les patients ont reçus 2 mg/kg ou 3 mg/kg de Strensiq trois fois par semaine pendant 24 semaines. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité du médicament était l'amélioration de l'aspect radiologique des articulations des poignets et des genoux avant et après le traitement par Strensiq. Les radiographies des enfants sous Strensiq ont également été comparées à des radiographies similaires de 16 enfants n'ayant pas reçu Strensiq («témoins historiques»). L'étude a également examiné d'autres critères d'évaluation de l'efficacité tels que la croissance (augmentation de la taille). Cette étude a montré que les enfants prenant Strensiq présentaient une amélioration de leur structure articulaire, mise en évidence sur les radiographies, et que la plupart d'entre eux semblaient présenter un gain statural. Chez les témoins historiques, la plupart des enfants ne présentaient pas d'améliorations semblables des articulations ni de gain statural sur une durée comparable. Des données supplémentaires issues d'une extension de cette étude chez des enfants âgés de 13 à 18 ans ont confirmé les résultats initiaux.

L'efficacité de Strensiq a également été appuyée de façon générale par plusieurs petites études complémentaires. Certaines des études ont examiné également la dose de 1 mg/kg de Strensiq administrée six fois par semaine.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Strensiq?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Strensiq (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les maux de tête, l'érythème (rougeur de la peau), les douleurs dans les bras et les jambes, la fièvre, l'irritabilité, les réactions au site d'injection (telles que douleurs, éruptions cutanées et démangeaisons) et les contusions (ecchymoses). Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions observés sous Strensiq, voir la notice.

Pourquoi Strensiq est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Strensiq sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

L'Agence a constaté que l'hypophosphatasie est une maladie grave qui met la vie du patient en danger, pour laquelle aucun traitement n'est autorisé. Bien que l'étude principale ait été de faible envergure et n'ait pas comparé directement Strensiq à un autre traitement ou à des patients non traités, l'Agence a estimé que l'amélioration observée sur les os et la croissance apparente était pertinente. Compte tenu du fait que l'hypophosphatasie est une maladie extrêmement rare, les données dans cette population resteront probablement limitées. Concernant la sécurité, les réactions au site d'injection et les autres effets indésirables ont été considérés comme gérables avec les recommandations en place.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Strensiq. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Strensiq en raison de la rareté de la maladie. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Strensiq?

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Strensiq, la société qui commercialise Strensiq mettra en place un registre de patients atteints

d'hypophosphatasie pour recueillir des informations sur la maladie et sur l'efficacité et la sécurité à long terme de Strensiq.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Strensiq?

La société qui commercialise Strensiq fournira aux patients et aux soignants des documents d'information pour s'assurer que le médicament est utilisé d'une manière correcte et pour réduire au minimum le risque d'erreurs médicamenteuses. Ces documents comprendront un guide d'auto-injection destiné aux patients, ainsi qu'un guide d'injection destiné aux parents ou soignants des enfants atteints par la maladie.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Strensiq ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Strensiq sont surveillées en permanence. Les effets secondaires rapportés avec Strensiq sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Strensiq:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Strensiq, le 28 août 2015.

Des informations sur Strensiq sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:

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

Dernière mise à jour du présent aperçu: 10-2018.