



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Strensiq (*asfotaza alfa*)

Pregled informacija o lijeku Strensiq i zašto je odobren u EU-u

Što je Strensiq i za što se primjenjuje?

Strensiq je lijek koji se dugoročno primjenjuje za liječenje bolesnika s hipofosfatazijom koja se javlja u djetinjstvu. Hipofosfatazija je rijetka nasljedna bolest kostiju koja može rezultirati ranim gubitkom zubi, deformiranim kostima, čestim frakturama kostiju i otežanim disanjem.

Strensiq sadrži djelatnu tvar asfotaza alfa.

Hipofosfatazija je rijetka bolest, a lijek Strensiq je dobio status „lijeka za rijetku bolesti“ 3. prosinca 2008. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

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

Kako se Strensiq primjenjuje?

Lijek Strensiq izdaje se samo na liječnički recept, a liječenje treba započeti liječnik s iskustvom u upravljanju metaboličkim ili koštanim poremećajima.

Dostupan je kao otopina za injekciju. Primjenjuje se supkutano injekcijom šest puta na tjedan (u dozi od 1 mg po kilogramu tjelesne težine) ili tri puta na tjedan (u dozi od 2 mg/kg). Budući da količina koja se primjenjuje ovisi o tjelesnoj težini bolesnika, liječnik treba prilagoditi dozu ovisno o promjenama u tjelesnoj težini bolesnika, posebice u djece u razvoju.

Više informacija o primjeni lijeka Strensiq pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Strensiq?

Enzim „nespecifična alkalna fosfataza“ (ALP) ima ključnu ulogu i stvaranju i održavanju zdravih kostiju te u održavanju kalcija i fosfata u organizmu. Bolesnici sa hipofosfatazijom ne mogu stvoriti dovoljno funkcionirajućeg ALP-a, što rezultira slabim kostima. Asfotaza alfa, djelatna tvar lijeka Strensiq, modificirana je verzija ljudskog enzima ALP-a i služi kao zamjena za neispravan enzim, time povećavajući razine funkcionirajućeg ALP-a.

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



Koje su koristi od lijeka Strensiq utvrđene u ispitivanjima?

Lijek Strensiq ispitivan je u jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 13-ero djece u dobi od 6 do 12 godina. Bolesnici su primili 2 mg/kg ili 3 mg/kg lijeka Strensiq tri puta na tjedan tijekom 24 tjedana. Glavno mjerilo djelotvornosti lijeka bilo je poboljšanje u rendgenskom pojavljivanju zglobova ruke i koljena bolesnika prije i nakon terapije lijekom Strensiq. Rendgenske snimke djece koja su primala Strensiq također su uspoređene sa sličnim rendgenskim snimkama snimljenima u 16-ero djece koja nisu primila lijek Strensiq („povijesni kontrolni podatci“). U ispitivanju su također istražene druge mjere djelotvornosti poput rasta. U ovom ispitivanju utvrđeno je da se u djece koja su primala lijek Strensiq poboljšala struktura zglobova, što je potvrđeno rendgenskim snimkama, a većina njih je i narasla. U povijesnim kontrolnim podacima većina djece nije iskusila slična poboljšanja u zglobovima niti narasla tijekom usporedivog razdoblja. Dodatni podatci iz nastavka ovog ispitivanja provedenog na djeci u dobi od 13 do 18 godina potvrdili su početne rezultate.

Djelotvornost lijeka Strensiq bila je također načelno podržana s nekoliko dodatnih manjih ispitivanja. Pojedina su ispitivanja također istražila dozu od 1 mg/kg lijeka Strensiq koji se davao šest puta na tjedan.

Koji su rizici povezani s lijekom Strensiq?

Najčešće nuspojave lijeka Strensiq (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu glavobolja, eritem (crvenilo kože), bol u rukama i nogama, vrućica, razdražljivost, reakcije na mjestu injekcije (poput boli, osipa i svrbeži) i kontuzije (masnice). Potpuni popis nuspojava i ograničenja pri primjeni lijeka Strensiq potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Strensiq odobren u EU-u?

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Strensiq nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u Europskoj uniji.

Agencija je zaključila da je hipofosfatazija ozbiljna i po život opasna bolest za koju nema odobrene terapije. Iako je glavno ispitivanje bilo malo i u njemu nije izravno uspoređeno djelovanje lijeka Strensiq s nekom drugom terapijom ili s neliječenim bolesnicima, Agencija je zaključila da su uočeno poboljšanje u kostima i očit rast relevantni. Uzimajući u obzir to da je hipofosfatazija iznimno rijetka bolest, izgledno je da će podatci u ovoj populaciji ostati ograničeni. U pogledu sigurnosti zaključeno je da se reakcije na mjestu injekcije i druge nuspojave mogu kontrolirati s obzirom na izdane preporuke.

Strensiq je odobren u „iznimnim okolnostima“. Razlog tome je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Strensiq zbog male učestalosti bolesti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove informacije koje postanu dostupne te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Strensiq?

Budući da je lijek Strensiq odobren u iznimnim okolnostima, tvrtka koja stavlja lijek Strensiq u promet uspostaviti će registar bolesnika s hipofosfatazijom kako bi prikupila informacije o bolesti te o dugoročnoj sigurnosti i djelotvornosti lijeka.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Strensiq?

Tvrtka koja stavlja lijek Strensiq u promet dostavit će bolesnicima i pružateljima skrbi materijale za obuku kako bi se osiguralo ispravno korištenje lijeka i smanjio rizik od medikacijske pogreške. Taj će

materijal uključiti vodič za samoubrizgavanje za bolesnike kao i vodič za davanje injekcija za roditelje ili pružatelje skrbi djece s ovom bolešću.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Strensiq također se nalaze u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Strensiq kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Strensiq pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Strensiq

Lijek Strensiq dobio je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u Europskoj uniji od 28. kolovoza 2015.

Više informacija o lijeku Strensiq nalazi se na internetskim stranicama Agencije:

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

Ovaj pregled informacija posljednji je put ažuriran u 10. 2018.