



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Strensiq (*asfotasa alfa*)

Información general sobre Strensiq y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Strensiq y para qué se utiliza?

Strensiq es un medicamento que se utiliza a largo plazo para tratar a los pacientes con hipofosfatasa de inicio en la infancia. La hipofosfatasa es una enfermedad rara hereditaria de los huesos que puede provocar pérdida prematura de dientes, malformaciones óseas, fracturas óseas frecuentes y dificultades respiratorias.

Strensiq contiene el principio activo asfotasa alfa.

La hipofosfatasa es «rara», y Strensiq fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 3 de diciembre de 2008. Puede encontrar más información acerca de la designación como medicamento huérfano en:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu308594).

### ¿Cómo se usa Strensiq?

Strensiq solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá iniciarlo un médico experimentado en el tratamiento de trastornos metabólicos u óseos.

Se presenta en forma de solución inyectable. Se administra mediante inyección subcutánea seis veces a la semana (en una dosis de 1 mg por kilogramo de peso corporal) o tres veces a la semana (en dosis de 2 mg/kg). Dado que la cantidad administrada depende del peso corporal individual, el médico tendrá que ajustar la dosis a medida que varía el peso del paciente, especialmente, en los niños en fase de crecimiento.

Para mayor información sobre el uso de Strensiq consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

### ¿Cómo actúa Strensiq?

La enzima «fosfatasa alcalina no específica de los tejidos» (ALP) juega un papel fundamental en la creación y el mantenimiento de huesos sanos y en el metabolismo del calcio y el fósforo en el

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



organismo. Los pacientes con hipofosfatasa no pueden segregar suficiente ALP funcional, lo que provoca una debilidad de los huesos. La asfotasa alfa, el principio activo de Strensiq, es una versión modificada de la enzima ALP humana y actúa como sustituto de la enzima defectuosa, lo que incrementa los niveles de ALP funcional.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Strensiq en los estudios realizados?**

Strensiq se ha estudiado en dos estudios principales con 13 niños de edades comprendidas entre los 6 y los 12 años. Los pacientes recibieron 2 mg/kg o 3 mg/kg de Strensiq tres veces a la semana durante 24 semanas. El principal criterio de valoración de la eficacia del medicamento fue la mejora de las imágenes radiográficas de las articulaciones de las muñecas y de las rodillas de los pacientes antes y después del tratamiento con Strensiq. Las radiografías de niños que recibieron Strensiq también se compararon con radiografías similares disponibles de 16 niños a los que no se había administrado Strensiq («controles históricos»). El estudio también investigó otras medidas de la eficacia, como el crecimiento en estatura. Este estudio mostró que los niños a los que se administró Strensiq presentaban una mejora en la estructura de las articulaciones, como demostraron las radiografías y la mayoría de ellos parecían ganar altura. En los controles históricos, la mayoría de los niños no experimentaron mejoras similares en las articulaciones ni aumento de altura a lo largo de un periodo de tiempo comparable. Datos adicionales de una ampliación de este estudio en niños de 13 a 18 años confirmaron los resultados iniciales.

La eficacia de Strensiq también estaba generalmente avalada por varios estudios adicionales a pequeña escala. Algunos de los estudios también investigaron la dosis de 1 mg/kg de Strensiq administrado seis veces a la semana.

## **¿Cuál es el riesgo asociado a Strensiq?**

Los efectos adversos más frecuentes de Strensiq (que pueden afectar a más de 1 de cada 10 personas) son cefalea, eritema (enrojecimiento de la piel), dolor en los brazos y las piernas, fiebre, irritabilidad, reacciones en el punto de inyección (como dolor, erupción cutánea y prurito) y contusión (hematomas). La lista completa de efectos adversos y restricciones de Strensiq se puede consultar en el prospecto.

## **¿Por qué se ha autorizado Strensiq en la UE?**

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Strensiq son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

La Agencia señaló que la hipofosfatasa es una enfermedad grave y potencialmente mortal para la que no existe ningún tratamiento autorizado. Aunque el estudio principal era limitado y no comparaba directamente Strensiq con otro tratamiento o con pacientes no tratados, la Agencia consideró que la mejora observada en los huesos y el crecimiento aparente eran relevantes. Dado que la hipofosfatasa es una enfermedad extremadamente rara, es probable que los datos de esta población sigan siendo limitados. En cuanto a la seguridad, las reacciones en el punto de inyección y otros efectos adversos se consideraron tratables con las recomendaciones en vigor.

Strensiq se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Strensiq debido a la rareza de la enfermedad. La Agencia revisará cada año la información nueva que pueda estar disponible y esta información general se actualizará cuando sea necesario.

## **¿Qué información falta todavía sobre Strensiq?**

Dado que Strensiq ha sido autorizado en circunstancias excepcionales, la compañía que comercializa Strensiq establecerá un registro de pacientes con hipofosfatasa para recoger información sobre la enfermedad y sobre la seguridad y la eficacia de Strensiq a largo plazo.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Strensiq?**

La compañía que comercializa Strensiq proporcionará a los pacientes y cuidadores materiales educativos para garantizar que el medicamento se utilice correctamente y reducir al mínimo el riesgo de errores de medicación. Este material incluirá una guía para la autoinyección destinada a los pacientes, así como una guía para la inyección destinada a padres y cuidadores de niños con la enfermedad.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Strensiq se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Strensiq se controlan permanentemente. Los efectos adversos notificados con Strensiq son evaluados cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

## **Otras informaciones sobre Strensiq**

Strensiq recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 28 de agosto de 2015.

Puede encontrar información adicional sobre Strensiq en la página web de la Agencia:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Strensiq).

Fecha de la última actualización de este resumen: 10-2018.