

# HPP-REGISTER

Eine longitudinale, prospektive Langzeit-Beobachtungsstudie für Patienten mit Hypophosphatasie

## Was ist Hypophosphatasie (HPP)?

Die HPP ist eine seltene genetische Erkrankung des Knochenstoffwechsels. Kennzeichen ist eine **erniedrigte Aktivität der gewebeunspezifischen alkalischen Phosphatase (TNSAP)**. In deren Folge akkumulieren nicht abgebaute TNSAP-Substrate. Die Veränderungen des Knochen- und Mineralstoffwechsels können schwere Skelett- und Organschädigungen hervorrufen.<sup>1-7</sup>

Die Aktivität der alkalische Phosphatase (AP) im Serum ist damit ein wichtiger Indikator für die HPP.<sup>3</sup>

## Haben Sie Patienten mit HPP?

Dann nehmen Sie an der HPP-Registerstudie teil – für ein tieferes Verständnis der HPP und ein verbessertes Bewusstsein für Erkrankung, Diagnose und Versorgung der Patienten.

# Welche Informationen werden für das HPP-Register gesammelt?<sup>7</sup>

**Daten:** Diagnostische Daten aus der Routineversorgung – zu Epidemiologie, Symptomen, Verlauf und Lebensqualität der Patienten

**Patienten:** Einschluss bei gesicherter HPP-Diagnose, unabhängig von Alter, Geschlecht und einer Asfotase-alfa-Behandlung

## Weitere Informationen

Das HPP-Register wird durch das Unternehmen Alexion Pharma Germany GmbH betreut. Seit 2015 bietet das Unternehmen mit Asfotase alfa eine Enzymersatztherapie zur Behandlung der Knochenmanifestationen einer HPP mit Beginn im Kindes- und Jugendalter an<sup>3,5</sup>.



Mehr Informationen zum Register und zur Anmeldung finden Sie unter [www.hppregistry.com](http://www.hppregistry.com) oder wenden Sie sich bitte an Tel. 089 4570 91 300

## Nehmen Sie am HPP-Register teil und verbessern Sie so langfristig die Versorgung der Patienten durch neue Erkenntnisse zur Erkrankung und Therapie!

**Quellen:** <sup>1</sup> Beck C et al. Klin Padiatr. 2009; 221: 219–226. <sup>2</sup> Millán JL, Plotkin H. Actual Osteol. 2012; 8: 164–182. <sup>3</sup> Schmidt T et al. Internist. 2016; doi:10.1007/s00108-016-0147-2. <sup>4</sup> Mornet E et al. Annals of Human Genetics. 2011; 75: 439–445. <sup>5</sup> Whyte MP. Nat Rev Endocrinol. 2016; doi:10.1038/nrendo.2016.14. <sup>6</sup> Orimo H. Therapeutics and Clinical Risk Management. 2016;12 777–786.8 Seefried L et al. Posterpräsentation auf der Jahrestagung der American Society for Bone and Mineral Research. 2015; SA0376. <sup>7</sup> Seefried L et al. Posterpräsentation auf der Jahrestagung der American Society for Bone and Mineral Research. 2015; SA0376.

**Strensiq® 40 mg/ml, 100 mg/ml Injektionslösung. Wirkstoff:** Asfotase alfa. Wirkstoffgruppe: Andere Mittel für das alimentäre System und den Stoffwechsel, Enzyme, ATC-Code: A16AB13. **Zusammensetzung:** Strensiq® 40 mg/ml Injektionslösung: 0,3 ml Durchstechflasche mit 12 mg Asfotase alfa. 0,45 ml Durchstechflasche mit 18 mg Asfotase alfa. 0,7 ml Durchstechflasche mit 28 mg Asfotase alfa. 1,0 ml Durchstechflasche mit 40 mg Asfotase alfa. Strensiq® 100 mg/ml Injektionslösung: 0,8 ml Durchstechflasche mit 80 mg Asfotase alfa. Sonstige Bestandteile mit bekannter Wirkung: Natrium (weniger als 1 mmol (23 mg) pro Durchstechflasche, nahezu natriumfrei). Sonstige Bestandteile: Natriumchlorid, Dinatriumhydrogenphosphat 7 H<sub>2</sub>O, Natriumdihydrogenphosphat 1 H<sub>2</sub>O, Wasser für Injektionszwecke. **Anwendungsgebiet:** Langzeit-Enzymersatztherapie bei Patienten, bei denen die Hypophosphatasie im Kindes- und Jugendalter aufgetreten ist, um die Knochenmanifestationen der Krankheit zu behandeln (siehe Abschnitt 5.1 der Fachinformation). **Gegenanzeigen:** Schwere oder lebensbedrohliche Überempfindlichkeit gegen den Wirkstoff oder einen der sonstigen Bestandteile, wenn die Überempfindlichkeitsreaktion nicht kontrollierbar ist (siehe Abschnitt 4.4 der Fachinformation). **Nebenwirkungen:** Kopfschmerzen, Erythem, Schmerzen in den Extremitäten, Reaktionen an der Injektionsstelle, Fieber, Reizbarkeit, Kontusion, anaphylaktoide Reaktionen, Überempfindlichkeit, Zellulitis an der Injektionsstelle, verstärkte Hämatomeigung, Hitzewallung, orale Hypoästhesie, Übelkeit, Lipohypertrophie, Cutis Laxa (Dermatochalasis), Hautverfärbung mit Hypopigmentierung, Hauterkrankung (gespannte Haut), Myalgie, Schüttelfrost, Narbe. **Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung, Wechselwirkungen mit anderen Arzneimitteln oder sonstige Wechselwirkungen, Schwangerschaft und Stillzeit:** siehe veröffentlichte Fachinformation. **Verschreibungspflichtig/Rezept- und apothekenpflichtig. Pharmazeutischer Unternehmer/ Zulassungsinhaber:** Alexion Europe SAS, 1-15 Avenue Edouard Belin, 92500 Rueil-Malmaison, Frankreich. Stand der Information: Februar 2018