



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/161737/2019
EMA/H/C/004744

Palynziq (*pegvaliase*)

Общ преглед на Palynziq и защо е разрешен за употреба в ЕС

Какво представлява Palynziq и за какво се използва?

Palynziq е лекарство, което се използва за лечение на фенилкетонурия (ФКУ) при възрастни и юноши на възраст над 16 години.

При пациентите с това генетично заболяване аминокиселината фенилаланин от протеините в храната не може да се обработва в организма и вследствие на това тя се натрупва в кръвта до абнормно високи нива, което причинява проблеми в нервната система. Palynziq се прилага при пациенти, при които нивата на фенилаланин в кръвта не се контролират в задоволителна степен с други лечения.

Palynziq е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 28 януари 2010 г. Допълнителна информация за „лекарства сираци“ можете да намерите тук: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Palynziq съдържа активното вещество пегвалиаза (pegvaliase).

Как се използва Palynziq?

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекар с опит в лечението на ФКУ. Преди започване на лечение трябва да се определят нивата на фенилаланин в кръвта. Препоръчва се измерване на нивото на фенилаланин в кръвта веднъж месечно по време на лечението. Palynziq е предназначен за продължителна употреба.

Palynziq се предлага под формата на предварително напълнени спринцовки (2,5, 10 и 20 mg) за подкожно приложение. Препоръчителната доза е 2,5 mg веднъж седмично в продължение на 4 седмици. След това дозата и честотата на инжектиране постепенно се увеличават (до максимална доза от 60 mg веднъж дневно) за постигане на достатъчен контрол върху нивата на фенилаланин в кръвта. Прилагането на Palynziq трябва да бъде съпроводено от строги мерки за управление на евентуални сериозни алергични реакции, особено през първите няколко месеца.

За повече информация относно употребата на Palynziq вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Как действа Palynziq?

Активното вещество в Palynziq пегвалиаза е бактериален ензим, който може да разгражда фенилаланин, а това предотвратява натрупването му в организма и помага за облекчаване на симптомите на фенилкетонурия. Ензимът в пегвалиазата е „пегилиран“ (свързан с химикал, наречен PEG), което му позволява да остане в организма и да действа по-дълго.

Какви ползи от Palynziq са установени в проучванията?

Основното проучване, в което е изследван Palynziq при пациенти с ПКУ, се състои от няколко части. По време на проучването пациентите трябва да поддържат постоянно ниво на прием на протеини с храната, за да е сигурно, че промените в нивата на фенилаланин в кръвта се дължат на лечението, а не на промяна в приема на протеини.

В първата част всички пациенти получават доза от 20 mg или 40 mg Palynziq в продължение на максимум 13 седмици. Осемдесет и шест пациенти, които се повлияват от лечението (т.е. при които нивата на фенилаланин в кръвта намаляват най-малко с 20 %), продължават да приемат същата доза Palynziq или получават плацебо (сляпо лечение). След 8-седмично лечение нивата на фенилаланин в кръвта остават под контрол при пациенти, приемащи Palynziq, но при пациенти на плацебо се възстановяват нивата от преди лечението, което показва, че Palynziq е по-ефективен от плацебо за намаляване на нивата на фенилаланин в кръвта и поддържането им в приемливи граници.

В продължението на лечението пациентите получават индивидуална оптимизирана доза Palynziq. Установено е, че при по-голямата част от пациентите лечението продължителното лечение с Palynziq в продължение на 18 месеца е ефективно за контролиране на нивата на фенилаланин в кръвта (под 600 микромола на литър).

Какви са рисковете, свързани с Palynziq?

Най-честите нежелани реакции при Palynziq (които може да засегнат повече от 7 на 10 души) са реакции на мястото на инжектиране, болка в ставите и алергични реакции. Най-значимите алергични реакции включват остра системна алергична реакция, ангиоедем (подкожно подуване в области, като лицето, гърлото, ръцете или краката) и серумна болест (алергична реакция, предизвикана от животински протеини или серум). За пълния списък на нежеланите реакции при Palynziq вижте листовката.

Palynziq не трябва да се прилага при пациенти, които са имали алергична реакция към пегвалиаза, към някоя от другите съставки на Palynziq или към друго пегилирано лекарство.

Защо Palynziq е разрешен за употреба в ЕС?

Показано е, че Palynziq е ефективен за намаляване на нивата на фенилаланин в кръвта и контролирането им. Счита се, че безопасността на Palynziq е приемлива, а важни нежелани реакции са управляеми при допълнителни строги мерки (вж. по-долу). Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от Palynziq са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Palynziq?

Фирмата, която предлага Palynziq ще предостави информационни материали за лекарите и за пациентите и хората, полагащи грижи за тях, относно риска от алергични реакции при Palynziq, включително за това как тези реакции да бъдат разпознати бързо и какво да се предприеме при появата им.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Palynziq, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени и в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Palynziq непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Palynziq, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Palynziq:

Допълнителна информация за Palynziq можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.