



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvaliasum*)

Přehled pro přípravek Palynziq a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Palynziq a k čemu se používá?

Palynziq je léčivý přípravek, který se používá k léčbě fenylketonurie u dospělých a dospívajících ve věku od 16 let.

Pacienti s tímto genetickým onemocněním nejsou schopni zpracovat aminokyselinu fenylalanin z bílkovin přijímaných potravou, což vede k tomu, že se tato aminokyselina hromadí v krvi a dosahuje abnormálně vysokých hladin, což následně vede k potížím s nervovým systémem. Přípravek Palynziq se používá u pacientů, u nichž hladiny fenylalaninu v krvi nejsou dostatečně kontrolovány jinými způsoby léčby.

Přípravek Palynziq byl stanoven dne 28. ledna 2010 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Přípravek Palynziq obsahuje léčivou látku pegvaliasa.

Jak se přípravek Palynziq používá?

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou fenylketonurie. Hladinu fenylalaninu v krvi je třeba změnit před zahájením léčby. Doporučuje se, aby byla měřena i v průběhu léčby, a to jednou měsíčně. Přípravek Palynziq je určen k dlouhodobému užívání.

Přípravek Palynziq je k dispozici v předplněných injekčních stříkačkách (2,5 mg, 10 mg a 20 mg) k podání pod kůži. Doporučená počáteční dávka přípravku je 2,5 mg jednou týdně po dobu čtyř týdnů. Dávka a četnost injekcí se poté postupně zvyšuje (až na maximální dávku 60 mg jednou denně), aby se dosáhlo dostatečné kontroly hladiny fenylalaninu v krvi. Při používání přípravku Palynziq je třeba uplatňovat přísná opatření za účelem zvládnutí jakýchkoli závažných alergických reakcí, a to zejména v prvních měsících léčby.

Více informací o používání přípravku Palynziq naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

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



Jak přípravek Palynziq působí?

Léčivá látka v přípravku Palynziq, pegvaliasa, je bakteriální enzym, který dokáže štěpit fenylalanin a tím zabránit jeho hromadění v těle a napomáhat zmírnění příznaků fenylketonurie. Enzym v pegvaliasu je „pegylovaný“ (navázaný na chemickou látku zvanou PEG), což mu umožňuje zůstat v těle a působit déle.

Jaké přínosy přípravku Palynziq byly prokázány v průběhu studií?

Hlavní studie zkoumající přípravek Palynziq u pacientů s fenylketonurií sestávala z různých částí. Po celou dobu studie se po pacientech požadovalo, aby jejich příjem bílkovin z potravy zůstal stejný, aby se zajistilo, že změny hladiny fenylalaninu v krvi lze přičíst léčbě, a nikoli změnám v příjmu bílkovin.

Během první části studie byl všem pacientům podáván přípravek Palynziq v dávce 20, nebo 40 mg po dobu až 13 týdnů. 86 pacientům, kteří na léčbu reagovali (tj. jejichž hladina fenylalaninu v krvi se snížila o minimálně 20 %), byla následně podávána buď stejná dávka přípravku Palynziq, nebo placebo (neúčinný přípravek). Po 8 týdnech léčby hladina fenylalaninu v krvi zůstala pod kontrolou u pacientů léčených přípravkem Palynziq, zatímco u pacientů užívajících placebo se vrátila na hodnotu před zahájením léčby, z čehož vyplývá, že přípravek Palynziq byl v rámci snižování hladiny fenylalaninu v krvi a jejího udržování v přijatelném rozmezí účinnější než placebo.

V prodloužené fázi studie pacienti dostávali individuálně optimalizovanou dávku přípravku Palynziq. Bylo prokázáno, že u většiny pacientů bylo pokračování v léčbě přípravkem Palynziq po dobu 18 měsíců účinné, pokud jde o udržování hladiny fenylalaninu v krvi pod kontrolou (na hodnotě nižší než 600 mikromolů na litr).

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Palynziq?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Palynziq (které mohou postihnout více než 7 osob z 10) jsou reakce v místě vpichu injekce, bolest kloubů a alergické reakce. Mezi nejvýznamnější alergické reakce patří akutní systémová alergická reakce, angioedém (podkožní otok v oblastech, jako je obličej, hrdlo, paže a nohy) a sérová nemoc (alergická reakce způsobená živočišnými bílkovinami nebo sérem). Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Palynziq je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Palynziq nesmí užívat pacienti, kteří prodělali alergickou reakci na pegvaliasu, kteroukoli další složku přípravku Palynziq nebo na kterýkoli jiný pegylovaný léčivý přípravek.

Na základě čeho byl přípravek Palynziq registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Palynziq je účinný v rámci snižování hladiny fenylalaninu v krvi a jejího udržování pod kontrolou. Má se za to, že bezpečnost přípravku Palynziq je přijatelná a důležité nežádoucí účinky, např. alergické reakce, jsou zvladatelné pomocí dalších přísných opatření (viz níže). Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Palynziq převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Palynziq?

Společnost, která přípravek Palynziq dodává na trh, poskytne informační materiály pro lékaře, pacienty a ošetřující osoby o riziku alergických reakcí na přípravek Palynziq, včetně pokynů, jak je rychle identifikovat a jak si počínat v případě výskytu takových reakcí.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Palynziq, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Palynziq průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Palynziq jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Palynziq

Další informace k přípravku Palynziq jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.