



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvaliase*)

En oversigt over Palynziq, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Palynziq, og hvad anvendes det til?

Palynziq er et lægemiddel, der anvendes til behandling af phenylketonuria (PKU) hos voksne og unge fra 16 års-alderen.

Patienter med denne genetiske sygdom kan ikke bearbejde aminosyren phenylalanin fra kostprotein, og som følge heraf ophober aminosyren sig i blodet til unormalt høje niveauer, hvilket forårsager problemer i nervesystemet. Palynziq anvendes til patienter, hvis indhold af phenylalanin i blodet ikke er tilstrækkeligt kontrolleret med andre behandlinger.

Palynziq blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 28. januar 2010. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes

her: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Palynziq indeholder det aktive stof pegvaliase.

Hvordan anvendes Palynziq?

Lægemidlet udleveres kun efter recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af en læge med erfaring i behandling af PKU. Indholdet af phenylalanin i blodet skal måles før påbegyndelse af behandlingen. Under behandlingen anbefales månedlige målinger. Palynziq er beregnet til langtidsbehandling.

Palynziq fås som fyldte sprøjter (2,5, 10 og 20 mg) til injektion under huden. Den anbefalede startdosis er 2,5 mg én gang ugentligt i 4 uger. Dosis og injektionshyppighed øges derefter gradvist (op til en maksimumsdosis på 60 mg én gang dagligt) for at opnå passende kontrol med indholdet af phenylalanin i blodet. Ved anvendelse af Palynziq skal der træffes strenge foranstaltninger for at håndtere eventuelle alvorlige allergiske reaktioner, især i de første par måneder.

For mere information om brug af Palynziq, se indlægssedlen eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.

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



Hvordan virker Palynziq?

Det aktive stof i Palynziq, pegvaliase, er et bakterieenzym, der kan nedbryde phenylalanin, og derved forhindre phenylalanin i at ophobe sig i kroppen og bidrage til at lindre symptomerne på phenylketonuria. Enzymet i pegvaliase er "pegylet" (dvs. bundet til et kemisk stof kaldet PEG), som giver det mulighed for at blive i kroppen og virke i længere tid.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Palynziq?

Hovedstudiet af Palynziq hos patienter med PKU bestod af forskellige dele. Patienterne skulle opretholde et konstant proteinindtag i løbet af studieforløbet for at sikre, at ændringerne i indholdet af phenylalanin i blodet kunne tilskrives behandlingen og ikke ændringer i proteinindtaget.

I den første del af studiet fik alle patienterne Palynziq i en dosis på 20 eller 40 mg i op til 13 uger. 86 patienter, der responderede på behandlingen (dvs. hvis indhold af phenylalanin i blodet blev reduceret med mindst 20 %), fik derefter samme dosis Palynziq eller placebo (en uvirksom behandling). Efter 8 ugers behandling var blodets indhold af phenylalanin under kontrol hos patienter, der fik Palynziq, men hos patienter, der fik placebo, blev niveauet det samme igen som før behandlingen, hvilket viste, at Palynziq var mere effektivt end placebo til at reducere indholdet af phenylalanin i blodet og holde det inden for et acceptabelt interval.

I udvidelsesfasen modtog patienterne en individuelt optimeret dosis Palynziq. Det blev påvist, at for de fleste patienter var fortsat behandling med Palynziq i 18 måneder effektivt til at holde blodets indhold af phenylalanin under kontrol (under 600 mikromol pr. liter).

Hvilke risici er der forbundet med Palynziq?

De hyppigste bivirkninger ved Palynziq (som kan forekomme hos mere end 7 ud af 10 personer) er reaktioner på injektionsstedet, smerter i leddene og allergiske reaktioner. De vigtigste allergiske reaktioner omfatter en akut, systemisk allergisk reaktion, angioødem (hævelse under huden i områder som ansigt, hals, arme og ben) og serumsygdom (allergisk reaktion forårsaget af animalsk protein eller serum). Den fuldstændige liste over bivirkninger ved Palynziq fremgår af indlægssedlen.

Palynziq må ikke anvendes til patienter, der har haft en allergisk reaktion over for pegvaliase, andre komponenter i Palynziq eller anden pegylet medicin.

Hvorfor blev Palynziq godkendt i EU?

Palynziq viste sig at være effektivt til at reducere indholdet af phenylalanin i blodet og holde det under kontrol. Sikkerheden ved Palynziq anses for acceptabel, og vigtige bivirkninger såsom allergiske reaktioner anses for at kunne håndteres med yderligere stringente foranstaltninger (se nedenfor). Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Palynziq opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Palynziq?

Virksomheden, der markedsfører Palynziq, vil udlevere informationsmateriale til læger og patienter og omsorgspersoner om risikoen for allergiske reaktioner med Palynziq, herunder om, hvordan de kan identificere dem hurtigt, og hvad der skal gøres, hvis en sådan reaktion opstår.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Palynziq.

Som for alle lægemidler er data vedrørende brug af Palynziq løbende overvåget. Bivirkninger rapporteret for Palynziq vurderes omhyggeligt, og der foretages nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Palynziq

Yderligere information om Palynziq findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.