



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*Pegvaliase*)

Übersicht über Palynziq und Begründung für die Zulassung in der EU

Was ist Palynziq und wofür wird es angewendet?

Palynziq ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung von Phenylketonurie (PKU) bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 16 Jahren angewendet wird.

Patienten mit dieser genetischen Erkrankung sind nicht in der Lage, die Aminosäure Phenylalanin aus Nahrungseiweiß zu verarbeiten, so dass sich abnorm hohe Aminosäurespiegel im Blut bilden, was Probleme im Nervensystem verursacht. Palynziq wird bei Patienten angewendet, deren Phenylalaninspiegel im Blut nicht angemessen mit anderen Behandlungen kontrolliert wurden.

Palynziq wurde am 28. Januar 2010 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Palynziq enthält den Wirkstoff Pegvaliase.

Wie wird Palynziq angewendet?

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung muss von einem Arzt eingeleitet und überwacht werden, der in der Behandlung von PKU erfahren ist. Der Phenylalaninspiegel im Blut muss vor Beginn der Behandlung gemessen werden. Während der Behandlung werden monatliche Messungen empfohlen. Palynziq ist zur Langzeitanwendung bestimmt.

Palynziq ist in Form von Fertigspritzen (2,5 mg, 10 mg und 20 mg) für die Injektion unter die Haut erhältlich. Die empfohlene Anfangsdosis beträgt einmal wöchentlich 2,5 mg für eine Dauer von 4 Wochen. Die Injektionsdosis und -häufigkeit werden dann schrittweise erhöht (bis zu einer Dosis von maximal 60 mg einmal täglich), um eine angemessene Kontrolle des Phenylalaninspiegels im Blut zu erreichen. Palynziq muss vor allem in den ersten Monaten mit strengen Maßnahmen zur Behandlung schwerer allergischer Reaktionen angewendet werden.

Weitere Informationen zur Anwendung von Palynziq entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

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



Wie wirkt Palynziq?

Der Wirkstoff in Palynziq, Pegvaliase, ist ein bakterielles Enzym, das Phenylalanin abbauen kann. Dadurch verhindert es, dass sich Phenylalanin im Körper ansammelt und trägt zur Linderung der Symptome der Phenylketonurie bei. Das Enzym in Pegvaliase wird „pegyliert“ (mit einer Chemikalie mit der Bezeichnung PEG verbunden), wodurch es länger im Körper bleiben und wirken kann.

Welchen Nutzen hat Palynziq in den Studien gezeigt?

Die Hauptstudie, in der Palynziq bei Patienten mit PKU untersucht wurde, bestand aus verschiedenen Teilen. Während der gesamten Studie waren die Patienten gehalten, eine konstante Menge an Nahrungseiweiß aufzunehmen, um sicherzustellen, dass Veränderungen der Phenylalaninkonzentrationen im Blut auf die Behandlung zurückgeführt werden konnten und nicht auf Veränderungen der Eiweißaufnahme.

Im ersten Teil erhielten alle Patienten bis zu 13 Wochen lang Palynziq in einer Dosis von 20 mg oder 40 mg. 86 Patienten, die auf die Behandlung ansprachen (d. h. deren Phenylalaninspiegel im Blut um mindestens 20 % gesenkt wurde), wurden dann entweder auf der gleichen Dosis Palynziq gehalten oder erhielten ein Placebo (eine Scheinbehandlung). Nach 8-wöchiger Behandlung blieben die Phenylalaninspiegel bei Patienten, die Palynziq einnahmen, unter Kontrolle, erreichten jedoch bei Patienten, die ein Placebo erhielten, wieder das Niveau von vor der Behandlung. Dies zeigte, dass Palynziq die Phenylalaninspiegel im Blut wirksamer senkte und in einem akzeptablen Bereich hielt als das Placebo.

In der Verlängerungsphase der Studie erhielten die Patienten eine individuelle optimierte Dosis Palynziq. Es wurde nachgewiesen, dass die fortgesetzte Behandlung mit Palynziq über einen Zeitraum von 18 Monaten bei der Mehrheit der Patienten die Phenylalaninspiegel wirksam unter Kontrolle hielt (unter 600 Mikromol pro Liter).

Welche Risiken sind mit Palynziq verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Palynziq (die mehr als 7 von 10 Personen betreffen können) sind Reaktionen an der Injektionsstelle, Schmerzen in den Gelenken und allergische Reaktionen. Zu den wichtigsten allergischen Reaktionen zählen eine akute systemische allergische Reaktion, das Angioödem (Schwellung unter der Haut in Bereichen wie Gesicht, Hals, Arme und Beine) und die Serumkrankheit (allergische Reaktion durch tierisches Eiweiß oder Serum). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Palynziq berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Palynziq darf nicht bei Patienten angewendet werden, die eine allergische Reaktion auf Pegvaliase, einen der anderen Bestandteile von Palynziq oder ein anderes pegyliertes Arzneimittel hatten.

Warum wurde Palynziq in der EU zugelassen?

Es hat sich gezeigt, dass Palynziq wirksam die Phenylalaninspiegel im Blut senkt und unter Kontrolle hält. Die Sicherheit von Palynziq wird als akzeptabel und wichtige Nebenwirkungen, wie allergische Reaktionen, werden als mit zusätzlichen strengen Maßnahmen beherrschbar betrachtet (siehe unten). Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Palynziq gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Palynziq ergriffen?

Das Unternehmen, das Palynziq in Verkehr bringt, wird Informationsmaterial für Ärzte und Patienten und Pflegekräfte über das Risiko allergischer Reaktionen im Zusammenhang mit Palynziq bereitstellen, einschließlich der Art und Weise, wie sie unverzüglich identifiziert werden können, und was zu tun ist, falls eine solche Reaktion erfolgt.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Palynziq, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Palynziq kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Palynziq werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Palynziq

Weitere Informationen über Palynziq finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.