



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvaliase*)

Ανασκόπηση του Palynziq και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Palynziq και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Palynziq είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της φαινυλοκετονουρίας (PKU) σε ενήλικες και εφήβους ηλικίας 16 ετών και άνω.

Ο οργανισμός των ασθενών με την εν λόγω γενετική νόσο δεν μπορεί να επεξεργαστεί το αμινοξύ φαινυλαλανίνη που υπάρχει στις πρωτεΐνες των τροφών, με αποτέλεσμα τη συσσώρευση του αμινοξέος στο αίμα σε εξαιρετικά υψηλά επίπεδα και την πρόκληση προβλημάτων στο νευρικό σύστημα. Το Palynziq χορηγείται σε ασθενείς με επίπεδα φαινυλαλανίνης στο αίμα που δεν ελέγχονται επαρκώς με άλλες θεραπείες.

Το Palynziq χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 28 Ιανουαρίου 2010. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Το φάρμακο περιέχει τη δραστική ουσία pegvaliase.

Πώς χρησιμοποιείται το Palynziq;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία της φαινυλοκετονουρίας. Τα επίπεδα της φαινυλαλανίνης στο αίμα πρέπει να μετρώνται πριν από την έναρξη της θεραπείας. Κατά τη διάρκεια της θεραπείας, συνιστάται η μηνιαία μέτρηση των επιπέδων φαινυλαλανίνης. Το Palynziq προορίζεται για μακροχρόνια χρήση.

Το Palynziq διατίθεται σε προγεμισμένες σύριγγες (2,5, 10 και 20 mg) για υποδόρια ένεση. Η συνιστώμενη δόση έναρξης είναι 2,5 mg μία φορά την εβδομάδα για 4 εβδομάδες. Στη συνέχεια, η δόση και η συχνότητα των ενέσεων αυξάνονται σταδιακά (με μέγιστη δόση τα 60 mg μία φορά την ημέρα) για τον επαρκή έλεγχο των επιπέδων φαινυλαλανίνης στο αίμα. Κατά τη χορήγηση του Palynziq πρέπει να λαμβάνονται αυστηρά μέτρα, ώστε να αντιμετωπίζονται τυχόν σοβαρές αλλεργικές αντιδράσεις, ιδίως κατά τους πρώτους μήνες.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Palynziq, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

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



Πώς δρα το Palynziq;

Η δραστική ουσία του Palynziq, η pegvaliase, είναι ένα βακτηριακό ένζυμο που μπορεί να διασπάσει την φαινυλαλανίνη, διακόπτοντας με αυτόν τον τρόπο τη συσσώρευσή της στον οργανισμό και συμβάλλοντας έτσι στην ανακούφιση των συμπτωμάτων της φαινυλοκετονουρίας. Το ένζυμο που περιέχει η pegvaliase είναι «πεγκυλιωμένο» (προσκολλημένο στη χημική ουσία πολυαιθυλενογλυκόλη), με αποτέλεσμα το φάρμακο να παραμένει στον οργανισμό και να παρατείνει τη δράση του για μεγαλύτερο χρονικό διάστημα.

Ποια είναι τα οφέλη του Palynziq σύμφωνα με τις μελέτες;

Η κύρια μελέτη για το Palynziq σε ασθενείς με PKU αποτελείται από διαφορετικά μέρη. Καθ' όλη τη διάρκεια της μελέτης, οι ασθενείς έπρεπε να λαμβάνουν σταθερό επίπεδο πρωτεϊνών μέσω της τροφής, ώστε να εξασφαλιστεί ότι οι αλλαγές στα επίπεδα φαινυλαλανίνης στο αίμα μπορούν να αποδοθούν στη θεραπεία και όχι σε αλλαγές στην πρόσληψη πρωτεϊνών.

Κατά τη διάρκεια του πρώτου μέρους της μελέτης, όλοι οι ασθενείς λάμβαναν Palynziq σε δόση 20 ή 40 mg για διάστημα έως 13 εβδομάδων. Ογδόντα έξι ασθενείς που αποκρίθηκαν στη θεραπεία (δηλαδή τα επίπεδα φαινυλαλανίνης τους μειώθηκαν τουλάχιστον κατά 20 %) είτε συνέχισαν να λαμβάνουν την ίδια δόση Palynziq είτε έλαβαν εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Μετά από 8 εβδομάδες θεραπείας, τα επίπεδα φαινυλαλανίνης στο αίμα παρέμειναν υπό έλεγχο στους ασθενείς που έλαβαν Palynziq, αλλά επανήλθαν στα επίπεδα προ της θεραπείας στους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο, αποδεικνύοντας ότι το Palynziq ήταν αποτελεσματικότερο από το εικονικό φάρμακο στη μείωση των επιπέδων φαινυλαλανίνης στο αίμα και στη διατήρησή τους εντός αποδεκτού εύρους.

Στη φάση επέκτασης της μελέτης οι ασθενείς έλαβαν βελτιστοποιημένη ατομική δόση Palynziq. Καταδείχθηκε ότι, για την πλειονότητα των ασθενών, η θεραπεία με Palynziq για 18 μήνες ήταν αποτελεσματική για τη διατήρηση των επιπέδων φαινυλαλανίνης στο αίμα υπό έλεγχο (κάτω από 600 μικρογραμμάρια ανά λίτρο).

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Palynziq;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Palynziq (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 7 στα 10 άτομα) είναι αντιδράσεις στο σημείο της ένεσης, πόνος στις αρθρώσεις και αλλεργικές αντιδράσεις. Στις σοβαρότερες ανεπιθύμητες ενέργειες περιλαμβάνονται οξεία συστηματική αλλεργική αντίδραση, αγγειοοίδημα (πρήξιμο κάτω από το δέρμα σε περιοχές όπως το πρόσωπο, τον λαιμό, τα χέρια και τα πόδια) και ορονοσία (αλλεργική αντίδραση που προκαλείται από ζωικές πρωτεΐνες ή ορό). Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Palynziq, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Palynziq δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που έχουν εμφανίσει αλλεργική αντίδραση στη pegvaliase, σε οποιοδήποτε άλλο από τα συστατικά του Palynziq ή σε οποιοδήποτε άλλο πεγκυλιωμένο φάρμακο.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Palynziq στην ΕΕ;

Το Palynziq αποδείχθηκε αποτελεσματικό στη μείωση των επιπέδων φαινυλαλανίνης στο αίμα και τη διατήρησή τους υπό έλεγχο. Η ασφάλεια του Palynziq θεωρείται αποδεκτή και οι σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες, όπως οι αλλεργικές αντιδράσεις, θεωρούνται αντιμετωπίσιμες με πρόσθετα αυστηρά μέτρα (βλ. κατωτέρω). Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Palynziq υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Palynziq;

Η παρασκευάστρια εταιρεία του Palynziq θα παράσχει στους γιατρούς, στους ασθενείς και στους φροντιστές τους ενημερωτικό υλικό σχετικά με τον κίνδυνο εμφάνισης αλλεργικών αντιδράσεων στο Palynziq καθώς και με τον τρόπο άμεσης διάγνωσης και αντιμετώπισής τους.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Palynziq.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Palynziq τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Palynziq αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Palynziq

Περισσότερες πληροφορίες για το Palynziq διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.