



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvaliaasi*)

Yleistiedot Palynziq-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Palynziq on ja mihin sitä käytetään?

Palynziq on lääke, jolla hoidetaan fenyylketonuria (PKU) aikuisilla ja vähintään 16-vuotiailla nuorilla.

Tätä geneettistä sairautta sairastavat potilaat eivät pysty muuntamaan ravinnon proteiinissa esiintyvää fenyylialaniini-nimistä aminohappoa. Heidän vereensä kerääntyy aminohappoa poikkeuksellisen suurina pitoisuuksina, mikä johtaa hermosto-ongelmiin. Palynziqia käytetään potilailla, joilla veren fenyylialaniinipitoisuus ei ole riittävästi hallinnassa muilla hoidoilla.

Palynziq nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 28. tammikuuta 2010. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Palynziqin vaikuttava aine on pegvaliaasi.

Miten Palynziqia käytetään?

Palynziqia saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta fenyylketonurian hoitamisesta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa. Veren fenyylialaniinipitoisuudet on mitattava ennen hoidon aloittamista. Hoidon aikana suositellaan kuukausittaisia mittauksia. Palynziq on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

Palynziqia on saatavana esitäytetyissä ruiskuissa (2,5, 10 ja 20 mg). Lääke injisoidaan ihon alle. Suositeltu aloitusannos on 2,5 mg kerran viikossa neljän viikon ajan. Annoksen ja injektion antotiheyttä lisätään vähitellen (enintään 60 mg:aan kerran päivässä), jotta fenyylialaniinin pitoisuus veressä saadaan riittävään hallintaan. Palynziq-valmistetta on käytettävä tiukkoja toimenpiteitä noudattaen mahdollisten allergisten reaktioiden hallitsemiseksi, erityisesti ensimmäisinä kuukausina.

Lisätietoja Palynziqin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Palynziq vaikuttaa?

Palynziqin vaikuttava aine pegvaliaasi on bakteerientsyymi, joka pystyy hajottamaan fenyylialaniinin, jolloin fenyylialaniinin muodostuminen elimistössä pysähtyy ja fenyylketonurian oireiden lievittäminen helpottuu. Pegvaliaasientsyymi on pegyloitu (kiinnitetty PEG-nimiseen kemikaaliin), minkä ansiosta se pysyy elimistössä ja toimii pidempään.

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



Mitä hyötyä Palynziq-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimus, jossa tutkittiin Palynziqin vaikutusta fenyyliketonuriaa sairastaviin potilaisiin, koostui eri osista. Koko tutkimuksen ajan oli tärkeää, että potilaat saivat vakiomäärän proteiinia ravinnossaan, jotta voitaisiin varmistaa veren fenyylialaniinipitoisuuden muutosten johtuvan hoidosta eikä muutoksista proteiinipitoisen ravinnon nauttimisesta.

Tutkimuksen ensimmäisessä vaiheessa potilaille annettiin 20 tai 40 mg Palynziq-valmistetta enintään 13 viikon ajan. Hoitoon vastanneet 86 potilasta (potilaat, joiden fenyylialaniinipitoisuus pieneni vähintään 20 %) saivat jatkossa saman määrän Palynziqia tai lumelääkettä. Kahdeksan viikon hoidon jälkeen veren fenyylialaniinipitoisuudet olivat hallinnassa Palynziqia saaneilla potilailla kun taas lumelääkettä saaneilla pitoisuudet palasivat tutkimusta edeltäneelle tasolle. Tämä osoitti Palynziq-valmisteen olevan lumelääkettä tehokkaampi veren fenyylialaniinipitoisuuksien pienentämisessä ja niiden ylläpitämisessä hyväksyttävissä rajoissa.

Tutkimuksen jatkovaiheessa potilaat saivat yksilöllisesti optimoidun annoksen Palynziqia. Tutkimuksessa osoitettiin, että 18 kuukauden keskeytymätön Palynziq-hoito oli tehokas suurimmalla osalla potilaista veren fenyylialaniinipitoisuuden pitämiseksi hallinnassa (alle 600 mikromoolia litrassa).

Mitä riskejä Palynziq-valmisteseen liittyy?

Palynziqin yleisimmät sivuvaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin 7 potilaalle 10:stä) ovat pistoskohdan reaktiot, kipu nivelissä ja allergiset reaktiot. Merkittävimpiä allergisia reaktioita ovat akuutti systeeminen allerginen reaktio, angioedeema (turvotus ihon alla sellaisilla alueilla kuin kasvoissa, kaulassa, käsivarsissa ja jaloissa) ja seerumitauti (eläinproteiinin tai seerumin aiheuttama allerginen reaktio). Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Palynziqin sivuvaikutuksista.

Palynziqia ei saa antaa potilaille, joilla on ollut pegvaliaasin, Palynziqin jonkin muun ainesosan tai muun pegyloidun lääkkeen aiheuttama allerginen reaktio.

Miksi Palynziq on hyväksytty EU:ssa?

Palynziqin on osoitettu vähentävän tehokkaasti veren fenyylialaniinipitoisuutta ja pitämään sen hallinnassa. Palynziqin turvallisuutta pidetään hyväksyttävänä ja sen merkittävimmät allergiset reaktiot katsotaan olevan hallittavissa, kun sovelletaan tiukkoja toimenpiteitä (ks. jäljempänä). Euroopan lääkevirasto katsoi, että Palynziqin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Palynziqin turvallinen ja tehokas käyttö?

Palynziqia markkinoiva yhtiö toimittaa lääkäreille, potilaille ja hoitajille tarkoitettua tiedotusaineistoa Palynziqin aiheuttamien allergisten reaktioiden riskistä, mukaan lukien tiedot siitä, miten ne voidaan tunnistaa nopeasti ja mitä on tehtävä reaktion tapahtuessa.

Suosituksset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Palynziqin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Palynziqin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Palynziq-valmisteesta ilmoitetut sivuvaikutukset arvioidaan huolellisesti ja suoritetaan kaikki tarvittavat toimet potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Palynziq-valmisteesta

Lisää tietoa Palynziqistä on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.