



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Palynziq (*pegvaliaza*)

Pregled informacija o lijeku Palynziq i zašto je odobren u EU-u

### Što je Palynziq i za što se primjenjuje?

Palynziq je lijek za liječenje fenilketonurije (PKU) u odraslih i adolescenata u dobi od 16 godina i starijih.

Bolesnici s ovom genetskom bolešću ne mogu probaviti aminokiselinu fenilalanin iz proteina koji se unosi hranom. Iz tog se razloga aminokiselina nakuplja u krvi do abnormalno visokih razina, uzrokujući probleme u živčanom sustavu. Palynziq se primjenjuje u bolesnika čije se razine fenilalanina na odgovarajući način nisu mogle kontrolirati drugim terapijama.

Palynziq je dobio status „lijeka za rijetku bolest“ 28. siječnja 2010. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest nalazi se ovdje: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708).

Palynziq sadrži djelatnu tvar pegvaliazu.

### Kako se Palynziq primjenjuje?

Lijek se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju PKU-a. Razine fenilalanina u krvi mora se izmjeriti prije početka terapije. Tijekom terapije preporučuju se mjesečna mjerenja fenilalanina. Palynziq je namijenjen za dugoročnu primjenu.

Palynziq je dostupan kao napunjena štrcaljka (2,5; 10 i 20 mg) za injektiranje pod kožu. Preporučena početna doza je 2,5 mg jednom tjedno tijekom četiri tjedna. Doza i učestalost injekcija zatim se postupno povećava (do maksimalne doze od 60 mg jednom dnevno) kako bi se postigla odgovarajuća kontrola razine fenilalanina u krvi. Palynziq se mora primjenjivati uz stroge mjere upravljanja bilo kakvim ozbiljnim alergijskim reakcijama, pogotovo u prvim mjesecima terapije.

Više informacija o primjeni lijeka Palynziq pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

### Kako djeluje Palynziq?

Djelatna tvar lijeka Palynziq, pegvaliaza, bakterijski je enzim koji razgrađuje fenilalanin, čime onemogućava njegovo nakupljanje u organizmu i pomaže pri ublažavanju simptoma fenilketonurije. Enzim u pegvaliazi je „pegiliran“ (vezan na kemikaliju naziva PEG), što mu omogućava da duže ostane u organizmu i duže djeluje.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Koje su koristi od lijeka Palynziq utvrđene u ispitivanjima?**

Glavno ispitivanje lijeka Palynziq u bolesnika s PKU-om sastojalo se od različitih faza. Tijekom ispitivanja bolesnici su morali održavati jednaku razinu unosa proteina hranom kako bi se osiguralo da se promjene razina fenilalanina u krvi može pripisati terapiji, a ne promjenama uzrokovanim unosom proteina hranom.

Tijekom prvog dijela svi su bolesnici primili Palynziq u dozi od 20 ili 40 mg u trajanju do 13 tjedana. Među njima, 86 bolesnika koji su reagirali na terapiju (tj. čije su razine fenilalanina u krvi smanjene za barem 20 %) zadržano je na istoj dozi lijeka Palynziq ili su primili placebo (prividno liječenje). Nakon osam tjedana terapije razine fenilalanina u krvi moglo se kontrolirati u bolesnika koji su primali Palynziq, no vratile su se na razine prije početka terapije u bolesnika koji su primali placebo, što pokazuje da je Palynziq bio učinkovitiji od placeba u smanjivanju razina fenilalanina u krvi i održavanju njegove razine u prihvatljivom rasponu.

U fazi nastavka ispitivanja bolesnici su primili individualiziranu optimiziranu dozu lijeka Palynziq. Utvrđeno je da je kod većine bolesnika nastavak terapije lijekom Palynziq tijekom 18 mjeseci bio učinkovit u održavanju razina fenilalanina u krvi pod kontrolom (manje od 600 mikromola na litru).

## **Koji su rizici povezani s lijekom Palynziq?**

Najčešće nuspojave lijeka Palynziq (koje se mogu javiti u više od 7 na 10 osoba) su reakcije na mjestu injiciranja, bol u zglobovima i alergijske reakcije. Najznačajnije alergijske reakcije uključuju akutnu sistemsku reakciju preosjetljivosti, angioedem (oticanje ispod kože u područjima poput lica, grla, ruku i nogu) te serumsku bolest (alergijsku reakciju uzrokovanu životinjskim proteinima ili serumom). Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Palynziq potražite u uputi o lijeku.

Palynziq se ne smije primjenjivati u bolesnika koji su imali alergijsku reakciju na pegvaliazu, na bilo koji drugi sastojak lijeka Palynziq ili na bilo koji drugi pegilirani lijek.

## **Zašto je Palynziq odobren u EU-u?**

Lijek Palynziq pokazao se učinkovitim u smanjivanju razina fenilalanina u krvi te u njihovu održavanju pod kontrolom. Sigurnost lijeka Palynziq smatra se prihvatljivom, a značajne nuspojave poput alergijskih reakcija može se kontrolirati uz pomoć dodatnih strogih mjera (vidjeti u nastavku). Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Palynziq nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Palynziq?**

Tvrtka koja lijek Palynziq stavlja u promet osigurat će informativne materijale za liječnike i bolesnike te njihove njegovatelje o rizicima od alergijskih reakcija pri primjeni lijeka Palynziq, uključujući informacije o tome kako ih odmah prepoznati te kako postupiti u slučaju pojave tih reakcija.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Palynziq također se nalaze u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Palynziq kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Palynziq pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

## Ostale informacije o lijeku Palynziq

Više informacija o lijeku Palynziq nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq).