



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (pegvaliáz)

A Palynziq-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú készítmény a Palynziq és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Palynziq egy olyan gyógyszer, amit a fenilketonuria (PKU) kezelésére használnak felnőtteknél és 16 év feletti serdülőknél.

Az ebben a genetikai rendellenességekben szenvedő betegek szervezete az elfogyasztott fehérjékben található, fenilalanin nevű aminosavat nem képes feldolgozni, emiatt a vérben felhalmozódik az aminosav, ami idegrendszeri problémákhoz vezet. A Palynziq olyan betegeknek használatos, akiknél a vér fenilalaninszintjét más kezelésekkel nem tudják megfelelően szabályozni.

A Palynziq-et 2010. január 28-án „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

A Palynziq hatóanyaga a pegvaliáz.

Hogyan kell alkalmazni a Palynziq-et?

A Palynziq csak receptre kapható, és a kezelést a PKU kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie. A kezelés megkezdése előtt mérni kell a fenilalaninszintet. A kezelés során a havonkénti mérés ajánlott. A Palynziq-et hosszú távú alkalmazásra szánták.

A Palynziq előretöltött fecskendők (2,5, 10 és 20 mg) formájában elérhető, és bőr alá adott injekcióként kell alkalmazni. A készítmény ajánlott kezdőadagja heti egyszeri 2,5 mg, 4 héten keresztül. Ezt követően az injekció adagját és gyakoriságát fokozatosan emelik (a napi egyszer 60 mg maximális adagig), hogy megfelelően tudják szabályozni a vér fenilalaninszintjét. A Palynziq-et szigorú intézkedésekkel kell alkalmazni bármely súlyos allergiás reakció kezelésére, különösen az első hónapokban.

A Palynziq alkalmazásával kapcsolatos további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

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



Hogyan fejt ki hatását a Palynziq?

A Palynziq hatóanyaga a pegvaliáz, egy bakteriális enzim, amely képes lebontani a fenilalanint, ezáltal megakadályozza, hogy a fenilalanin felhalmozódjon a vérben, és segíti a fenilketonuriás tünetek enyhítését. A pegvaliázban lévő enzim „pegilált” (egy PEG nevű vegyülethez van kapcsolva), ami lehetővé teszi, hogy tovább maradjon a vérben és hosszabb ideig fejtse ki hatását.

Milyen előnyei voltak a Palynziq alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Palynziq-et a PKU-ban szenvedő betegeknél értékelő fő vizsgálat különböző részekből állt. A betegeknek a vizsgálat egész időtartama alatt állandó szinten kellett tartaniuk a táplálékkal történő fehérjebevitelt, így biztosítva, hogy a vér fenilalaninszintjének változása a kezelésnek legyen betudható, és nem a fehérjebevitel változásának.

Az első szakaszban minden beteg 20 vagy 40 mg Palynziq-et kapott legfeljebb 13 héten át. A kezelésre reagáló (vagyis akiknél a vér fenilalaninszintje legalább 20%-kal csökkent) nyolcvanhat beteg vagy ugyanabban az adagban kapta tovább a Palynziq-et, vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kapott. 8 hetes kezelés után a vér fenilalaninszintje továbbra is szabályozott maradt azoknál a betegeknél, akik Palynziq-et kaptak, míg a placebót kapó betegeknél visszaállt a kezelés előtti szintre, amik azt mutatja, hogy a Palynziq hatásosabban csökkenti a vér fenilalaninszintjét, mint a placebo, és képes azt egy elfogadható tartományon belül tartani.

A vizsgálat kiterjesztett szakaszában a betegek a Palynziq egyénileg beállított, optimális adagját kapták. Kimutatták, hogy a Palynziq-kezelést 18 hónapon át folytató betegek többségénél a kezelés hatásosan szabályozta (600 mikromol/liter alatt tartotta) a vér fenilalaninszintjét.

Milyen kockázatokkal jár a Palynziq alkalmazása?

Palynziq esetében a leggyakoribb mellékhatások (melyek 10 beteg közül több, mint 7-nél jelentkehetnek) a beadási helyen észlelt reakciók, az ízületi fájdalom és az allergiás reakció. A legjelentősebb allergiás reakciók közé tartozik a heveny szisztémás allergiás reakció, az angioödéma (bőr alatti duzzanat olyan testrészekben, mint az arc, a torok, a kezek és a lábak) és a szérumbetegség (állati fehérje vagy szérum által okozott allergiás reakció). A Palynziq alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Palynziq nem használható olyan betegeknél, akiknél allergiás reakció alakult ki a pegvaliázra, vagy a Palynziq bármely más összetevőjére, vagy más pegilált gyógyszerre.

Miért engedélyezték a Palynziq forgalomba hozatalát az EU-ban?

Kimutatták, hogy a Palynziq hatásosan csökkenti és szabályozza a vér fenilalaninszintjét. A Palynziq biztonságossága elfogadhatónak tekinthető, és a fontos mellékhatások, mint például az allergiás reakciók, további szigorú intézkedésekkel (lásd alább) kezelhetőnek tekinthetők. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Palynziq alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Palynziq biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Palynziq-et forgalmazó vállalat tájékoztató anyagot fog nyújtani az orvosok, valamint a betegek és a gondozók számára a Palynziq alkalmazásával kapcsolatos allergiás reakciók kockázatáról, ideértve a reakciók gyors azonosításának módját, és mi a teendő, ha ilyen reakció alakul ki.

A Palynziq biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Palynziq alkalmazásával kapcsolatos információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Palynziq alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Palynziq-vel kapcsolatos egyéb információ

A Palynziq-re vonatkozó további információ az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.