



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Palynziq (*pegvaliase*)

Sintesi di Palynziq e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

### Cos'è Palynziq e per cosa si usa?

Palynziq è un medicinale usato per il trattamento della fenilchetonuria (PKU) negli adulti e negli adolescenti a partire dai 16 anni di età.

I pazienti affetti da questa malattia genetica non sono in grado di metabolizzare l'aminoacido fenilalanina assunto con l'apporto proteico, che quindi si accumula nel sangue a livelli anormalmente alti, causando problemi a carico del sistema nervoso. Palynziq è indicato in pazienti i cui livelli ematici di fenilalanina non sono stati adeguatamente controllati con altri trattamenti.

Palynziq è stato definito come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 28 gennaio 2010. Maggiori informazioni sulla definizione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708).

Palynziq contiene il principio attivo pegvaliase.

### Come si usa Palynziq?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere iniziata e controllata da un medico esperto nel trattamento della PKU. Prima dell'inizio del trattamento devono essere misurati i livelli di fenilalanina nel sangue. Durante il trattamento, si raccomanda di effettuare misurazioni mensili. Palynziq è destinato all'uso a lungo termine.

Palynziq è disponibile sotto forma di siringhe preriempite (2,5, 10 e 20 mg) per iniezione sottocutanea. Il dosaggio raccomandato è di 2,5 mg una volta alla settimana per 4 settimane. La dose e la frequenza dell'iniezione vengono quindi gradualmente aumentate (fino a una dose massima di 60 mg una volta al giorno) per ottenere un adeguato controllo dei livelli di fenilalanina nel sangue. Palynziq deve essere assunto con misure rigorose per gestire eventuali reazioni allergiche gravi, in particolare nei primi mesi.

Per maggiori informazioni sull'uso di Palynziq, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

---

**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



## Come agisce Palynziq?

Il principio attivo di Palynziq, pegvaliase, è un enzima batterico in grado di degradare la fenilalanina, impedendole di accumularsi nell'organismo. Tale azione contribuisce ad alleviare i sintomi della fenilchetonuria. L'enzima nella pegvaliase è "pegilato" (aggregato a una sostanza chimica denominata PEG) in modo da poter rimanere nell'organismo più a lungo e agire di conseguenza.

## Quali benefici di Palynziq sono stati evidenziati negli studi?

Il principale studio su Palynziq in pazienti affetti da PKU era costituito da diverse parti. Durante tutto lo studio i pazienti erano tenuti a mantenere un livello costante di assunzione di proteine con la dieta, al fine di garantire che le variazioni dei livelli di fenilalanina nel sangue potessero essere attribuite al trattamento piuttosto che a cambiamenti nell'assunzione di proteine.

Durante la prima parte, a tutti i pazienti è stato somministrato Palynziq alla dose di 20 o 40 mg per un massimo di 13 settimane. Ottantasei pazienti che hanno risposto al trattamento (ossia i cui livelli di fenilalanina si sono ridotti di almeno il 20 %) sono quindi stati trattati con la stessa dose di Palynziq oppure hanno assunto un placebo (trattamento fittizio). Dopo 8 settimane di assunzione, i livelli di fenilalanina nel sangue sono rimasti sotto controllo nei pazienti trattati con Palynziq, mentre sono tornati ai livelli di pretrattamento nei pazienti che assumevano placebo. Tale dato ha evidenziato che Palynziq era più efficace del placebo nel ridurre i livelli di fenilalanina nel sangue e nel mantenerli entro un intervallo accettabile.

Durante la fase di estensione dello studio ai pazienti è stata somministrata una dose individuale ottimizzata di Palynziq. Si è evidenziato che per la maggior parte dei pazienti un trattamento continuativo con Palynziq per 18 mesi manteneva efficacemente sotto controllo i livelli di fenilalanina del sangue (al di sotto di 600 micromole per litro).

## Quali sono i rischi associati a Palynziq?

Gli effetti indesiderati più comuni di Palynziq (che possono riguardare più di 7 persone su 10) sono reazioni al sito dell'iniezione, dolore alle articolazioni e reazioni allergiche. Tra le reazioni allergiche più significative vi sono: reazione allergica acuta sistemica, angioedema (tumefazione sotto la pelle in parti del corpo quali il viso, la gola, le braccia e le gambe) e malattia da siero (reazione allergica dovuta alle proteine animali o al siero). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Palynziq, vedere il foglio illustrativo.

Palynziq non deve essere somministrato a pazienti che hanno avuto una reazione allergica a pegvaliase, a uno qualsiasi degli altri componenti o a qualsiasi altro medicinale pegilato.

## Perché Palynziq è autorizzato nell'UE?

Palynziq ha evidenziato di essere efficace nel ridurre i livelli di fenilalanina nel sangue e nel mantenerli sotto controllo. La sicurezza di Palynziq è considerata accettabile e gli effetti indesiderati importanti, come le reazioni allergiche, sono considerati gestibili se vengono adottate ulteriori misure rigorose (cfr. infra). L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Palynziq sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

## **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Palynziq?**

La ditta che commercializza Palynziq fornirà materiale informativo per i medici, per i pazienti e per chi li assiste in merito al rischio di reazioni allergiche con il medicinale, compreso come identificarle rapidamente e cosa fare nel caso in cui tali reazioni si verificano.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Palynziq sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Palynziq sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Palynziq sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

## **Altre informazioni su Palynziq**

Ulteriori informazioni su Palynziq sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq).