



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvaliazė*)

Palynziq apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas ES

Kas yra Palynziq ir kam jis vartojamas?

Palynziq – tai vaistas, kuriuo nuo fenilketonurijos gydomi suaugusieji ir paaugliai nuo 16 metų amžiaus.

Šia genetinė liga sergančių pacientų organizmas negali perdirbti maisto baltymuose esančios amino rūgšties fenilalanino ir dėl to kraujyje susidaro pernelyg didelė amino rūgšties koncentracija, sutrikdanti nervų sistemos veiklą. Palynziq skiriamas pacientams, kurių fenilalanino koncentracijos kraujyje nesureguliuavo kiti vaistai.

2010 m. sausio 28 d. Palynziq buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Palynziq sudėtyje yra veikliosios medžiagos pegvaliazės.

Kaip vartoti Palynziq?

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis fenilketonurijos gydymo patirties. Prieš pradėdant gydymą, būtina išmatuoti fenilalanino koncentraciją kraujyje. Gydymo metu fenilalanino koncentraciją rekomenduojama matuoti kas mėnesį. Šis vaistas skirtas ilgalaikiam vartojimui.

Palynziq tiekiamas užpildytuose švirkštuose (2,5, 10 ir 20 mg) ir švirkščiamas po oda. Rekomenduojama pradinė dozė yra 2,5 mg kartą per savaitę 4 savaites. Siekiant tinkamai kontroliuoti fenilalanino koncentraciją kraujyje, injekcijos dozė ir injekcijų dažnis palaipsniui didinami (kol pasiekama didžiausia dozė – 60 mg kartą per parą). Palynziq turi būti vartojamas imantis griežtų atsargumo priemonių, jei pasireikštų sunkios alerginės reakcijos, ypač per pirmus keletą mėnesių.

Daugiau informacijos apie Palynziq vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

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



Kaip veikia Palynziq?

Veiklioji Palynziq medžiaga pegvaliazė yra bakterijų fermentas, kuris skaido fenilalaniną ir taip stabdo fenilalanino kaupimąsi organizme bei malšina fenilketonurijos simptomus. Pegvaliazės fermentas yra pegiliuotas (prijungtas prie cheminės medžiagos, vadinamos PEG), dėl to lieka organizme ir ilgiau veikia.

Kokia Palynziq nauda nustatyta tyrimų metu?

Pagrindinį Palynziq veiksmingumo fenilketonurija sergantiems pacientams tyrimą sudarė kelios dalys. Viso tyrimo metu buvo reikalaujama, kad pacientai išlaikytų pastovų su maistu suvartojamų baltymų kiekį, siekiant užtikrinti, kad fenilalanino koncentracijos kraujyje pokyčius lemtų gydymas, o ne skirtingas baltymų vartojimas.

Pirmoje dalyje visiems pacientams iki 13 savaičių buvo skiriama 20 arba 40 mg Palynziq dozė. Aštuoniasdešimt šeši pacientai, kuriems gydymas buvo veiksmingas (t. y. kurių fenilalanino koncentracija kraujyje sumažėjo ne mažiau kaip 20 proc.), vėliau vartojo tokią pačią Palynziq dozę arba placebą (preparatą be veikliosios medžiagos). Po 8 gydymo savaičių Palynziq vartojusių pacientų kraujyje fenilalanino koncentracija liko tokia pati, o placebą vartojusių pacientų kraujyje ji tapo tokia kaip iki gydymo pradžios; tai įrodo, kad Palynziq veiksmingiau už placebą sumažina fenilalanino koncentraciją kraujyje ir palaiko priimtina jos lygį.

Tęstinėje tyrimo fazėje pacientams buvo skirta individuali optimizuota Palynziq dozė. Nustatyta, kad 18 mėnesių trukęs tęstinis gydymas Palynziq daugumos pacientų kraujyje veiksmingai palaikė priimtina fenilalanino koncentraciją (mažiau kaip 600 mikromolių viename litre).

Kokia rizika susijusi su Palynziq vartojimu?

Dažniausias Palynziq šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 7 žmonėms iš 10) yra reakcijos injekcijos vietoje, sąnarių skausmas ir alerginės reakcijos. Sunkiausios alerginės reakcijos – tai ūmios sisteminės alerginės reakcijos, angioedema (veido, gerklės, rankų ir kojų odos patinimas) ir seruminė liga (alerginė reakcija, kurią sukelia gyvūniniai baltymai arba serumas). Išsamų visų Palynziq šalutinio poveikio reiškinių sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Palynziq negalima vartoti pacientams, kuriems pasireiškė alerginė reakcija pegvaliazei, bet kokioms kitoms Palynziq sudedamosioms dalims arba bet kokiam kitam pegiliuotam vaistui.

Kodėl Palynziq buvo patvirtintas ES?

Nustatyta, kad Palynziq veiksmingai mažina fenilalanino koncentraciją kraujyje ir kontroliuoja jo kiekį. Manyta, kad Palynziq saugumas – priimtinas, o svarbiausi šalutinio poveikio reiškiniai, pvz., alerginės reakcijos, – kontroliuojami papildomai taikant griežtas atsargumo priemones (žr. toliau). Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Palynziq nauda yra didesnė už keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Palynziq vartojimą?

Palynziq prekiaujanti bendrovė gydytojams, pacientams bei slaugytojams pateiks informacinę medžiagą, kurioje bus perspėjama apie alerginių reakcijų vartojant Palynziq pavojų, taip pat kaip juos greitai pastebėti bei ką daryti įvykus tokiai reakcijai.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Palynziq vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Palynziq vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Palynziq šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Palynziq

Daugiau informacijos apie Palynziq rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.