



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Palynziq (*pegvaliase*)

Een overzicht van Palynziq en waarom het is geregistreerd in de EU

### Wat is Palynziq en wanneer wordt het voorgeschreven?

Palynziq is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van fenyktonurie (PKU) bij volwassenen en adolescenten vanaf 16 jaar.

Patiënten met deze genetische aandoening kunnen het aminozuur fenylalanine uit eiwitten in de voeding niet verwerken. Hierdoor hoopt het aminozuur zich tot een abnormaal hoog niveau op in het bloed, wat kan leiden tot problemen met het zenuwstelsel. Palynziq wordt gebruikt bij patiënten van wie het fenylalaninegehalte in het bloed niet voldoende onder controle is gebracht met andere behandelingen.

Palynziq is op 28 januari 2010 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708).

Palynziq bevat de werkzame stof pegvaliase.

### Hoe wordt Palynziq gebruikt?

Het geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart en gecontroleerd door een arts die ervaring heeft met de behandeling van PKU. Voordat de behandeling wordt gestart, moet het fenylalaninegehalte in het bloed worden gemeten. Tijdens de behandeling moet dit maandelijks worden gemeten. Palynziq is bedoeld voor langdurig gebruik.

Palynziq is beschikbaar als voorgevulde spuit (2,5, 10 en 20 mg) voor onderhuidse injectie. De aanbevolen dosering is 2,5 mg eenmaal per week gedurende vier weken. De injectiedosis en -frequentie worden vervolgens geleidelijk verhoogd (tot een maximale dosis van eenmaal 60 mg per dag) om het fenylalaninegehalte in het bloed voldoende onder controle te krijgen. Bij het gebruik van Palynziq moeten strenge maatregelen worden genomen om ernstige allergische reacties in de hand te houden, vooral in de eerste maanden.

Zie de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Palynziq.

---

**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



## Hoe werkt Palynziq?

De werkzame stof in Palynziq, pegvaliase, is een bacterieel enzym dat fenylalanine kan afbreken. Dit houdt de ophoping van fenylalanine in het lichaam tegen en helpt de symptomen van fenylketonurie te verlichten. Het enzym in pegvaliase is 'gepegyleerd' (gekoppeld aan een chemische stof die PEG wordt genoemd), waardoor het langer in het lichaam kan blijven en langer kan werken.

## Welke voordelen bleek Palynziq tijdens de studies te hebben?

De hoofdstudie naar Palynziq bij patiënten met PKU bestond uit verschillende delen. De patiënten moesten de eiwitname uit hun voeding gedurende het hele onderzoek constant houden, zodat dat veranderingen in het fenylalaninegehalte in het bloed konden worden gekoppeld aan de behandeling en niet aan veranderingen in de eiwitname.

Tijdens het eerste deel kregen alle patiënten Palynziq toegediend in een dosis van 20 of 40 mg gedurende maximaal 13 weken. De 86 patiënten die reageerden op de behandeling (d.w.z. bij wie het fenylalaninegehalte in het bloed met ten minste 20% was verlaagd) kregen daarna dezelfde dosis Palynziq of een placebo (een schijnbehandeling). Bij patiënten die Palynziq gebruikten, bleef het fenylalaninegehalte na 8 weken behandeling onder controle, maar de patiënten die een placebo kregen, keerden terug naar het niveau van voor de behandeling, wat aantoonde dat Palynziq beter was dan een placebo om het fenylalaninegehalte in het bloed te verminderen en dit binnen een acceptabel bereik te houden.

Tijdens de uitbreidingsfase kregen de patiënten een persoonlijke en voor hen optimale dosis Palynziq toegediend. Er is aangetoond dat aanhoudende behandeling met Palynziq gedurende 18 maanden het fenylalaninegehalte in het bloed onder controle kan houden (minder dan 600 micromol per liter) bij de meerderheid van de patiënten.

## Welke risico's houdt het gebruik van Palynziq in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Palynziq (die meer dan 7 op de 10 mensen kunnen optreden) zijn reacties op de injectieplaats, pijn in de gewrichten en allergische reacties. De belangrijkste allergische reacties zijn acute systemische allergische reacties, angio-oedeem (zwellendheid onder de huid op bijvoorbeeld het gezicht, keel, armen en benen) en serumziekte (allergische reactie veroorzaakt door dierlijke eiwitten of serum). Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van Palynziq.

Palynziq mag niet worden gebruikt bij patiënten die een allergische reactie hebben gehad op pegvaliase, op een van de andere bestanddelen van Palynziq of op een ander gepegyleerd geneesmiddel.

## Waarom is Palynziq geregistreerd in de EU?

Palynziq is doeltreffend gebleken bij het verminderen en onder controle houden van het fenylalaninegehalte in het bloed. De veiligheid van Palynziq wordt aanvaardbaar geacht en belangrijke bijwerkingen zoals allergische reacties worden als beheersbaar beschouwd met extra strenge maatregelen (zie hieronder). Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Palynziq groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Palynziq te waarborgen?**

Het bedrijf dat Palynziq op de markt brengt, zal voorlichtingsmateriaal verstrekken aan artsen, patiënten en zorgverleners over het risico van allergische reacties op Palynziq, met name hoe ze snel kunnen worden ontdekt en wat men moet doen als een dergelijke reactie zich voordoet.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Palynziq, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Palynziq continu gemonitord. Waargenomen bijwerkingen voor Palynziq worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

## **Overige informatie over Palynziq**

Meer informatie over Palynziq is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq).