



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegwaliaza*)

Przegląd wiedzy na temat leku Palynziq i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Co to jest lek Palynziq i w jakim celu się go stosuje

Palynziq jest lekiem stosowanym w leczeniu fenyloketonurii (PKU) u osób dorosłych i młodzieży w wieku od 16 lat.

Organizm pacjentów z tą chorobą genetyczną nie jest w stanie przetwarzać aminokwasu fenyloalaniny znajdującego się w białku pochodzącym z pokarmów. W wyniku tego aminokwas gromadzi się we krwi, osiągając nieprawidłowo wysokie stężenie, co powoduje problemy w układzie nerwowym. Palynziq jest stosowany u pacjentów, u których poziom fenyloalaniny we krwi nie jest odpowiednio kontrolowany za pomocą innego leczenia.

W dniu 28 stycznia 2010 r. Palynziq uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Lek Palynziq zawiera substancję czynną pegwaliazę.

Jak stosować lek Palynziq

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu PKU. Przed rozpoczęciem leczenia należy określić poziom fenyloalaniny we krwi. W trakcie leczenia zaleca się dokonywanie comiesięcznych pomiarów. Lek Palynziq jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.

Palynziq jest dostępny w ampułko-strzykawkach (2,5, 10 i 20 mg) do wstrzykiwań podskórnych. Zalecana dawka początkowa wynosi 2,5 mg raz w tygodniu przez 4 tygodnie. Następnie dawkę i częstotliwość wstrzyknięć stopniowo zwiększa się (do maksymalnej dawki 60 mg raz na dobę), aby uzyskać odpowiednią kontrolę poziomu fenyloalaniny we krwi. Palynziq należy przyjmować z zastosowaniem rygorystycznych środków w celu opanowania wszelkich poważnych reakcji alergicznych, szczególnie w pierwszych kilku miesiącach.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Palynziq znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



Jak działa lek Palynziq

Substancja czynna leku Palynziq, pegwaliaza, jest enzymem bakteryjnym, który rozkłada fenyloalaninę, a tym samym powstrzymuje jej gromadzenie się w organizmie i łagodzi objawy fenyloketonurii. Enzym pegwaliaza jest „pegylowany” (przyłączony do substancji chemicznej o nazwie PEG), co umożliwia mu utrzymanie się w organizmie i przedłużenie działania.

Korzyści ze stosowania leku Palynziq wykazane w badaniach

Główne badanie oceniające lek Palynziq u pacjentów z PKU składało się z różnych części. W trakcie całego badania pacjenci byli zobowiązani do utrzymywania stałego poziomu spożycia białka, aby zagwarantować, że zmiany w poziomie fenyloalaniny we krwi można przypisać zastosowanemu leczeniu, a nie ilości spożytego białka.

W pierwszej części wszyscy pacjenci otrzymywali Palynziq w dawce 20 mg lub 40 mg przez maksymalnie 13 tygodni. Następnie 86 pacjentom, u których wystąpiła odpowiedź na leczenie (tzn. u których poziom fenyloalaniny we krwi zmniejszył się co najmniej o 20%) nadal podawano tę samą dawkę leku Palynziq albo placebo (leczenie pozorowane). Po 8 tygodniach leczenia poziom fenyloalaniny we krwi u pacjentów przyjmujących Palynziq nadal pozostawał pod kontrolą, natomiast u pacjentów otrzymujących placebo ponownie osiągnął wartość sprzed leczenia. Pokazuje to, że Palynziq był skuteczniejszy niż placebo w obniżaniu poziomu fenyloalaniny i utrzymywaniu go w dopuszczalnym zakresie.

W fazie kontynuacyjnej pacjenci otrzymywali indywidualną, zoptymalizowaną dawkę leku Palynziq. Wykazano, że w przypadku większości pacjentów kontynuacja leczenia z zastosowaniem leku Palynziq przez 18 miesięcy skutecznie utrzymywała poziom fenyloalaniny we krwi pod kontrolą (poniżej 600 mikromoli na litr).

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Palynziq

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Palynziq (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to reakcje w miejscu wstrzyknięcia, bóle stawów i reakcje alergiczne. Najpoważniejsze reakcje alergiczne obejmują ostrą ogólnoustrojową reakcję alergiczną, obrzęk naczynioruchowy (opuchliznę pod skórą w takich obszarach, jak twarz, gardło, ramiona i nogi) oraz chorobę posurowiczną (reakcję alergiczną spowodowaną białkami pochodzenia zwierzęcego lub surowicą). Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Palynziq znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Palynziq nie wolno stosować u pacjentów, u których wystąpiła reakcja alergiczna na pegwaliazę, na którykolwiek z pozostałych składników leku Palynziq lub na inne leki pegylowane.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Palynziq w UE

Wykazano, że lek Palynziq skutecznie obniża poziom fenyloalaniny we krwi i utrzymuje go pod kontrolą. Bezpieczeństwo stosowania leku Palynziq uznano za dopuszczalne, a poważne działania niepożądane, takie jak reakcje alergiczne, uznaje się za możliwe do opanowania za pomocą dodatkowych rygorystycznych środków (zob. poniżej). Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Palynziq przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Palynziq

Firma wprowadzająca lek Palynziq do obrotu dostarczy lekarzom oraz pacjentom i ich opiekunom materiały informacyjne na temat ryzyka wystąpienia reakcji alergicznych związanych z przyjmowaniem Palynziq, w tym na temat tego jak szybko je zidentyfikować i co zrobić w przypadku wystąpienia takiej reakcji.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Palynziq w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Palynziq są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Palynziq są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Palynziq

Dalsze informacje dotyczące leku Palynziq znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.