



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvaliază*)

O prezentare generală a Palynziq și de ce este autorizat acest medicament în UE

Ce este Palynziq și pentru ce se utilizează?

Palynziq este un medicament utilizat pentru tratarea fenilcetonuriei (PKU) la adulți și adolescenți peste 16 ani.

Pacienții cu această boală genetică nu pot prelucra aminoacidul fenilalanină din proteinele alimentare și, prin urmare, aminoacizii se acumulează în sânge până la concentrații anormal de mari, cauzând probleme ale sistemului nervos. Palynziq este utilizat la pacienți la care concentrația de fenilalanină în sânge nu a fost ținută sub control în mod adecvat cu alte tratamente.

Palynziq a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 28 ianuarie 2010. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate ca orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Palynziq conține substanța activă pegvaliază.

Cum se utilizează Palynziq?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul fenilcetonuriei. Concentrația de fenilalanină în sânge trebuie măsurată înainte de începerea tratamentului. În timpul tratamentului, se recomandă efectuarea de măsurători lunare. Palynziq este destinat utilizării pe termen lung.

Palynziq este disponibil sub formă de seringi preumplute (2.5 mg, 10 mg și 20 mg) pentru injectare sub piele. Doza inițială recomandată este de 2,5 mg o dată pe săptămână timp de 4 săptămâni. Doza și frecvența injectării sunt apoi mărite treptat (până la o doză maximă de 60 mg o dată pe zi), pentru a obține un control adecvat al concentrației de fenilalanină în sânge. Palynziq trebuie utilizat în asociere cu măsuri stricte de gestionare a reacțiilor alergice grave, în special în primele câteva luni.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Palynziq, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

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



Cum acționează Palynziq?

Substanța activă din Palynziq, pegvaliaza, este o enzimă bacteriană care poate descompune fenilalanina, împiedicând-o astfel să se acumuleze în organism și contribuind la atenuarea simptomelor de fenilcetonurie. Enzima din pegvaliază este „pegilată” (legată de o substanță chimică numită PEG), permițându-i să rămână în organism și să acționeze mai mult timp.

Ce beneficii a prezentat Palynziq pe parcursul studiilor?

Studiul principal care a analizat Palynziq la pacienți cu fenilcetonurie are mai multe părți. Pe parcursul studiului, pacienților li s-a cerut să mențină un nivel constant al aportului alimentar de proteine, pentru ca modificările în concentrația de fenilalanină în sânge să fie o consecință a tratamentului, și nu a modificărilor în aportul de proteine.

În prima parte a studiului, tuturor pacienților li s-a administrat o doză de Palynziq de 20 mg sau de 40 mg, timp de cel mult 13 săptămâni. Cei 86 de pacienți care au răspuns la tratament (adică, la care concentrația de fenilalanină în sânge s-a redus cu cel puțin 20 %), fie au primit în continuare aceeași doză de Palynziq, fie au primit placebo (un preparat inactiv). După 8 săptămâni de tratament, concentrația de fenilalanină în sânge era ținută sub control la pacienții care au luat Palynziq, dar a revenit la valorile dinaintea tratamentului la pacienții care au primit placebo, ceea ce arată că Palynziq a fost mai eficace decât placebo în reducerea concentrației de fenilalanină în sânge și în menținerea ei la un nivel acceptabil.

În faza de extindere a studiului, pacienții au primit o doză individuală optimizată de Palynziq. S-a demonstrat că, la majoritatea pacienților, continuarea tratamentului cu Palynziq timp de 18 luni a fost eficace în ținerea sub control a concentrației de fenilalanină în sânge (sub 600 micromoli pe litru).

Care sunt riscurile asociate cu Palynziq?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Palynziq (care pot afecta mai mult de 7 persoane din 10) sunt reacții la locul injectării, dureri de articulații și reacții alergice. Cele mai importante reacții alergice sunt reacție alergică sistemică acută, angioedem (umflături sub piele în zone precum față, gât, brațe și picioare) și boala serului (reacție alergică cauzată de proteine animale sau de ser). Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Palynziq, citiți prospectul.

Palynziq este contraindicat la pacienți care au avut o reacție alergică la pegvaliază, la celelalte componente ale Palynziq sau la alte medicamente pegilate.

De ce este Palynziq autorizat în UE?

Palynziq s-a dovedit eficace în reducerea concentrației de fenilalanină în sânge și ținerea ei sub control. Siguranța Palynziq este considerată acceptabilă, iar reacțiile adverse importante, cum ar fi reacțiile alergice, sunt considerate gestionabile prin măsuri suplimentare stricte (vezi mai jos). Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Palynziq sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Palynziq?

Compania care comercializează Palynziq va furniza medicilor, pacienților și îngrijitorilor lor materiale informative cu privire la riscul de reacții alergice la Palynziq, inclusiv despre identificarea lor promptă și ce trebuie făcut în cazul unei astfel de reacții alergice.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Palynziq, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Palynziq sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Palynziq sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Palynziq

Informații suplimentare cu privire la Palynziq sunt disponibile pe site-ul Agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.