



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvaliáza*)

Prehľad o lieku Palynziq a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Palynziq a na čo sa používa?

Palynziq je liek, ktorý sa používa na liečbu fenylketonúrie (PKU) u dospelých a dospievajúcich od veku 16 rokov.

Pacienti s týmto genetickým ochorením nedokážu spracovať aminokyselinu fenylalanín z bielkovín prijatých v strave, v dôsledku čoho sa im táto aminokyselina ukladá v krvi v abnormálne vysokých hladinách, čo spôsobuje problémy nervového systému. Liek Palynziq sa používa u pacientov, u ktorých hladina fenylalanínu v krvi nie je uspokojivo kontrolovaná inou liečbou.

Liek Palynziq bol dňa 28. januára 2010 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia („orphan medicine“). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Liek Palynziq obsahuje liečivo pegvaliáza.

Ako sa liek Palynziq používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou PKU. Hladinu fenylalanínu v krvi je potrebné zmerať pred začiatkom liečby. Počas liečby sa odporúča merať ju každý mesiac. Liek Palynziq je určený na dlhodobé používanie.

Liek Palynziq je dostupný v naplnených injekčných striekačkách (2,5, 10 a 20 mg) na injekčné podanie pod kožu. Odporúčaná počiatočná dávka je 2,5 mg raz týždenne počas 4 týždňov. Dávku a frekvenciu podávania injekcií možno potom postupne zvyšovať (na maximálnu dávku 60 mg raz denne), aby sa dosiahla primeraná kontrola hladiny fenylalanínu v krvi. Pri používaní lieku Palynziq sú potrebné prísne opatrenia na zvládnutie akýchkoľvek závažných alergických reakcií, najmä počas niekoľkých prvých mesiacov.

Viac informácií o používaní lieku Palynziq si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

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



Akým spôsobom liek Palynziq účinkuje?

Liečivo lieku Palynziq, pegvaliáza, je bakteriálny enzým, ktorý dokáže rozkladať fenylalanín, čím bráni tomu, aby sa hromadil v tele a pomáha pri zmiernení symptómov fenylketonúrie. Enzým v pegvaliáze je tzv. pegylovaný (spojený s chemikáliou s názvom PEG), čím mu umožňuje zostať v tele a pôsobiť dlhšie.

Aké prínosy lieku Palynziq boli preukázané v štúdiách?

Hlavná štúdia skúmajúca liek Palynziq u pacientov s PKU pozostávala z rôznych častí. Počas štúdie sa od pacientov vyžadovalo, aby udržiavali konštantnú úroveň príjmu bielkovín v strave, aby mohli byť zmeny v hladine fenylalanínu v krvi pripísané liečbe, a nie zmenám v príjme bielkovín.

Počas prvej časti sa všetkým pacientom podával liek Palynziq v dávke 20 alebo 40 mg počas obdobia až 13 týždňov. 86 pacientov, ktorí odpovedali na liečbu (t. j. u ktorých sa hladina fenylalanínu v krvi znížila aspoň o 20 %), dostávalo potom naďalej rovnakú dávku lieku Palynziq alebo sa im podávalo placebo (zdanlivý liek). Po 8 týždňoch liečby zostala hladina fenylalanínu v krvi pod kontrolou u pacientov, ktorým sa podával liek Palynziq, vrátila sa však na úroveň zaznamenanú pred liečbou u pacientov, ktorým sa podávalo placebo, z čoho vyplýva, že liek Palynziq bol pri znižovaní hladiny fenylalanínu v krvi a jej udržiavaní v prijateľnom rozsahu účinnejší než placebo.

V rozširujúcej fáze štúdie pacienti dostávali jednotlivú optimalizovanú dávku lieku Palynziq. Preukázalo sa, že pokračujúca liečba liekom Palynziq počas 18 mesiacov bola pre väčšinu pacientov účinná, pokiaľ ide o udržanie hladiny fenylalanínu v krvi pod kontrolou (menej než 600 mikromólov na liter).

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Palynziq?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Palynziq (ktoré môže postihnúť viac ako 7 osôb z 10) sú reakcie v mieste vpichu, bolesť kĺbov a alergické reakcie. Medzi najvýznamnejšie alergické reakcie patria akútna systémová alergická reakcia, angioedém (opuch pod kožou v oblastiach, ako je napríklad tvár, hrdlo, ruky a nohy) a sérová choroba (alergická reakcia spôsobená živočíšnymi bielkovinami alebo sérom). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Palynziq sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Palynziq nemožno používať u pacientov, u ktorých sa objavila alergická reakcia na pegvaliázu, na akúkoľvek ďalšiu zložku lieku Palynziq alebo na akýkoľvek iný pegylovaný liek.

Prečo bol liek Palynziq povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Palynziq je účinný pri znižovaní hladiny fenylalanínu v krvi a jej udržiavaní pod kontrolou. Bezpečnosť lieku Palynziq sa považuje za prijateľnú a významné vedľajšie účinky, ako napríklad alergické reakcie, sa pri použití dodatočných prísnych opatrení (pozri ďalej) považujú za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Palynziq sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Palynziq?

Spoločnosť, ktorá liek Palynziq uvádza na trh, poskytne lekárom, pacientom a opatrovateľom informačný materiál o riziku alergických reakcií na liek Palynziq vrátane informácií, ako ich rýchlo odhaliť a čo spraviť v prípade výskytu alergickej reakcie.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Palynziq boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Palynziq sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Palynziq sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Palynziq

Ďalšie informácie o lieku Palynziq sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.