



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvaliaza*)

Pregled zdravila Palynziq in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Palynziq in za kaj se uporablja?

Palynziq je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje s fenilketonurijo (PKU) pri odraslih in mladostnikih, starejših od 16 let.

Bolniki s to dedno boleznijo ne morejo razgraditi aminokislina fenilalanin, ki je prisotna v beljakovinah v hrani, zaradi česar se ta kopiči v krvi in dosega neobičajno visoko raven, kar povzroča težave z živčnim sistemom. Zdravilo Palynziq se uporablja pri bolnikih, pri katerih ravni fenilalanina v krvi niso bile ustrezno uravnane z drugimi oblikami zdravljenja.

Zdravilo Palynziq je bilo 28. januarja 2010 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Zdravilo Palynziq vsebuje učinkovino pegvaliaza.

Kako se zdravilo Palynziq uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem fenilketonurije. Pred začetkom zdravljenja je treba izmeriti ravni fenilalanina v krvi. Med zdravljenjem je priporočljivo opravljati mesečne meritve. Zdravilo Palynziq je namenjeno dolgotrajni uporabi.

Zdravilo Palynziq je na voljo v napolnjenih injekcijskih brizgah (2,5 mg, 10 mg in 20 mg) za podkožno injiciranje. Priporočeni začetni odmerek je 2,5 mg enkrat na teden prve štiri tedne. Nato se odmerek in pogostnost vbizgavanja postopoma povečujeta (do največjega odmerka v jakosti 60 mg enkrat na dan), da se doseže ustrezn nadzor nad ravnmi fenilalanina v krvi. Zdravilo Palynziq se mora uporabljati s strogimi ukrepi za obvladovanje kakršnih koli resnih alergijskih reakcij, zlasti v prvih mesecih.

Za več informacij glede uporabe zdravila Palynziq glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

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



Kako zdravilo Palynziq deluje?

Učinkovina v zdravilu Palynziq, pegvaliaza, je bakterijski encim, ki lahko razgrajuje fenilalanin, s čimer preprečuje kopičenje fenilalanina v telesu in pomaga ublažiti simptome fenilketonurije. Encim v pegvaliazi je „pegiliran“ (vezan na kemikalijo, imenovano polietilenglikol), da lahko dlje ostane in deluje v telesu.

Kakšne koristi je zdravilo Palynziq izkazalo v študijah?

Glavna študija, v kateri so zdravilo Palynziq proučevali pri bolnikih s fenilketonurijo, je bila sestavljena iz dveh delov. V študiji so morali bolniki ohranjati stalno raven vnosa beljakovin v prehrani, da bi lahko spremembe ravni fenilalanina v krvi pripisali zdravljenju, ne pa spremembam vnosa beljakovin.

V prvem delu so vsi bolniki do 13 tednov prejeli zdravilo Palynziq v odmerku 20 mg ali 40 mg. Šestinsosemdeset bolnikov, ki so se odzvali na zdravljenje (tj. pri katerih so se ravni fenilalanina v krvi zmanjšale za najmanj 20 %), je nato bodisi še naprej prejelo enak odmerek zdravila Palynziq bodisi so prejeli placebo (zdravilo brez učinkovine). Po osmih tednih zdravljenja so ravni fenilalanina v krvi ostale pod nadzorom pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Palynziq, vendar so se pri bolnikih, ki so prejeli placebo, vrnil na ravni pred zdravljenjem, kar kaže, da je bilo zdravilo Palynziq pri zniževanju ravni fenilalanina v krvi učinkovitejše od placeba in jih ohranja v sprejemljivem razponu.

V podaljšanem obdobju študije so bolniki prejeli odmerek zdravila Palynziq, prilagojen vsakemu posamezniku. Dokazano je bilo, da je bilo za večino bolnikov 18-mesečno nadaljevanje zdravljenja z zdravilom Palynziq učinkovito pri uravnavanju ravni fenilalanina v krvi pod nadzorom (pod 600 mikromolov na liter).

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Palynziq?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Palynziq (ki se lahko pojavijo pri največ 7 bolnikih od 10) so reakcije na mestu injiciranja, bolečina v sklepih in alergijske reakcije. Najpomembnejše alergijske reakcije so akutna sistemska alergijska reakcija, angioedem (otekanje pod kožo na območjih, kot so obraz, grlo, roke in noge), in serumska bolezen (alergijska reakcija, ki jo povzročijo živalske beljakovine ali serum). Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Palynziq, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Palynziq se ne sme uporabljati pri bolnikih, ki so imeli alergijsko reakcijo na pegvaliazo, katero koli drugo sestavino zdravila Palynziq ali katero koli drugo pegilirano zdravilo.

Zakaj je bilo zdravilo Palynziq odobreno v EU?

Dokazano je bilo, da je zdravilo Palynziq učinkovito pri zniževanju ravni fenilalanina v krvi in jih ohranja pod nadzorom. Varnost zdravila Palynziq se šteje za sprejemljivo, pomembni neželeni učinki, kot so alergijske reakcije, pa veljajo za obvladljive z dodatnimi strogimi ukrepi (glej spodaj). Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Palynziq večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Palynziq?

Podjetje, ki trži zdravilo Palynziq, bo priskrbelo informativno gradivo za zdravnike ter bolnike in negovalce o tveganju za alergijske reakcije pri uporabi tega zdravila, vključno s tem, kako jih prepoznati takoj in kako ravnati, če se pojavijo.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Palynziq upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Palynziq stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Palynziq, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Palynziq

Nadaljnje informacije o zdravilu Palynziq so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.