



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvalias*)

Sammanfattning av Palynziq och varför det är godkänt inom EU

Vad är Palynziq och vad används det för?

Palynziq är ett läkemedel som används för att behandla fenylketonuri (PKU) hos vuxna och ungdomar från 16 års ålder.

Patienter med denna genetiska sjukdom kan inte bryta ned aminosyran fenylalanin ur protein i kosten. Det leder till att onormalt höga nivåer av aminosyran ansamlas i blodet, vilket orsakar problem i nervsystemet. Palynziq ges till patienter vars halt av fenylalanin i blodet inte har kontrollerats tillräckligt väl med andra behandlingar.

Palynziq klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 28 januari 2010. Mer information om klassificeringen som sär-läkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Palynziq innehåller den aktiva substansen pegvalias.

Hur används Palynziq?

Palynziq är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla fenylketonuri. Halten av fenylalanin i blodet ska mätas innan behandlingen inleds. Under behandlingen rekommenderas att mätningar görs varje månad. Palynziq är avsett för långtidsbehandling.

Palynziq finns som förfyllda sprutor (2,5 mg, 10 mg och 20 mg) för injektion under huden. Den rekommenderade startdosen är 2,5 mg en gång i veckan i 4 veckor. Dosen och injektionsfrekvensen ökas därefter gradvis (upp till en högsta dos på 60 mg en gång per dag) för att uppnå tillräcklig kontroll av halten fenylalanin i blodet. Palynziq ska användas med strikta åtgärder för att hantera eventuella allvarliga allergiska reaktioner, särskilt under de första månaderna.

För mer information om hur du använder Palynziq, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Palynziq?

Den aktiva substansen i Palynziq, pegvalias är ett bakteriellt enzym som kan bryta ner fenylalanin och därmed stoppa fenylalanin från att byggas upp i kroppen och hjälpa till att lindra symtomen på

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



fenylketonuri. Enzymet i pegvalias är "pegylerat" (fäst vid en kemikalie som kallas PEG) vilket gör att det stannar kvar i kroppen och verkar under längre tid.

Vilka fördelar med Palynziq har visats i studierna?

Huvudstudien som undersökte Palynziq hos patienter med PKU bestod av olika delar. Under hela studien var patienterna tvungna att upprätthålla ett konstant intag av proteiner via kosten, för att se till att förändringar i halten av fenylalanin i blodet kunde tillskrivas behandlingen i stället för förändringar av proteinintaget.

Under den första delen fick samtliga patienter Palynziq vid en dos på 20 mg eller 40 mg i upp till 13 veckor. Åttiosex patienter som svarade på behandlingen (dvs. vars halt av fenylalanin i blodet minskade med minst 20 procent) fick sedan antingen samma dos Palynziq eller placebo (overksam behandling). Efter 8 veckors behandling förblev halten av fenylalanin i blodet under kontroll hos patienterna som fick Palynziq, men den återgick till samma halt som före behandlingen hos de patienter som fick placebo. Detta visade att Palynziq var effektivare än placebo när det gällde att minska halten av fenylalanin i blodet och hålla den inom ett godtagbart intervall.

Under studiens förlängningsfas fick patienterna en individuellt optimerad dos av Palynziq. Denna fas visade att för de flesta patienter var fortsatt behandling med Palynziq i 18 månader effektivt för att hålla halten av fenylalanin i blodet under kontroll (under 600 mikromol per liter).

Vilka är riskerna med Palynziq?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Palynziq (kan uppträda hos fler än 7 av 10 personer) är reaktioner på injektionsstället, smärta i lederna och allergiska reaktioner. De mest signifikanta allergiska reaktionerna omfattar akut systemisk allergisk reaktion, angioödem (svullnad under huden i områden som ansikte, hals, armar och ben) och serumsjukdom (allergisk reaktion orsakad av animaliska proteiner eller serum). En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Palynziq finns i bipacksedeln.

Palynziq får inte ges till patienter som har fått en allergisk reaktion mot pegvalias, mot någon av de andra komponenterna i Palynziq eller mot någon annat pegylerat läkemedel.

Varför är Palynziq godkänt i EU?

Palynziq visade sig vara effektivt när det gäller att minska halten av fenylalanin i blodet och hålla den under kontroll. Säkerheten för Palynziq anses vara godtagbar och viktiga biverkningar såsom allergiska reaktioner anses vara hanterbara med strikta tilläggsåtgärder (se nedan). Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att fördelarna med Palynziq är större än riskerna och att Palynziq kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Palynziq?

Företaget som marknadsför Palynziq kommer att tillhandahålla informationsmaterial till läkare, patienter och vårdare om risken för allergiska reaktioner med Palynziq, inklusive hur de snabbt kan identifieras och vad som ska göras om en sådan reaktion inträffar.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Palynziq har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Palynziq kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Palynziq utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Palynziq

Mer information om Palynziq finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.