

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

Palynziq (pegvaliaas)

Ülevaade ravimist Palynziq ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Palynziq ja milleks seda kasutatakse?

Palynziq on ravim, mida kasutatakse fenüülketonuuriaga (PKU) täiskasvanute ja vähemalt 16-aastaste noorukite raviks.

Selle geneetilise haigusega patsientide organism ei töötle toiduvalguga saadavat aminohapet fenüülalaniini, mistõttu tekib veres selle aminohappe ebanormaalselt suur sisaldus, mis põhjustab närvisüsteemi probleeme. Palynziqit kasutatakse patsientidel, kellel vere fenüülalaniinisaldus ei ole piisavalt hallatav muu raviga.

Haigus esineb harva ja Palynziq nimetati 28. jaanuaril 2010 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Palynziq sisaldab toimeainena pegvaliaasi.

Kuidas ravimit Palynziq kasutatakse?

Palynziq on retseptiravim. Ravi tohib alustada fenüülketonuuria ravis kogenud arst ja see peab toimuma tema järelevalve all. Enne ravi alustamist tuleb määrata vere fenüülalaniinisaldus. Ravi ajal soovitatakse seda määrata üks kord kuus. Palynziq on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks.

Palynziqit turustatakse eeltäidetud süstaldes (2,5 mg, 10 mg ja 20 mg) subkutaanseks (naha alla) süstimiseks. Soovitav algannus on 2,5 mg üks kord nädalas 4 nädala jooksul. Annust ja süstimisagedust võib seejärel järk-järgult suurendada (kuni maksimumannuseni 60 mg üks kord ööpäevas), et saavutada vere fenüülalaniinisalduse piisav ohjamine. Palynziqi kasutamisel tuleb võtta ranged meetmed, et iga raske allergiline reaktsioon, eriti esimestel kuudel, oleks hallatav.

Lisateavet Palynziqi kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige oma arsti või apteekriga.

Kuidas Palynziq toimib?

Palynziq sisaldab toimeainena bakteriaalset ensüümi pegvaliaasi, mis lagundab fenüülalaniini, peatades seega fenüülalaniini kuhjumise organismis ja aidates leevendada fenüülketonuuria sümptomeid. Pegvaliaasis sisalduv ensüüm on pegüleeritud (seotud polüetüleenglükooliga (PEG)), mis võimaldab ensüümil organismis püsida ja toimida kauem.



Milles seisneb uuringute põhjal Palynziqi kasulikkus?

Põhiuuring, milles vaadeldi Palynziqi toimet fenüülketonuuriaga patsientidele, koosnes eri osadest. Kogu uuringu jooksul pidid patsiendid säilitama valkude muutumatu koguse toidus, tagamaks, et vere fenüülalaniinisalduse muutusi saaks seostada pigem raviga kui sissevõetava valgu muutustega.

Esimeses osas anti kõigile patsientidele kuni 13 nädala jooksul Palynziqit annuses 20 mg või 40 mg. 86 patsiendil, kellel tekkis ravivastus (vere fenüülalaniinisaldus vähenes vähemalt 20% võrra), kas säilitati sama Palynziqi annus või anti neile edaspidi platseebot (näiv ravim). Pärast 8 ravinädalat jäi patsientidel, kes said Palynziqit, vere fenüülalaniinisaldus hallatavaks, kuid platseebot saanud patsientidel suurenes see ravieelse tasemeni, mis tõendab, et Palynziq oli efektiivsem kui platseebo vere fenüülalaniinisalduse vähendamisel ning selle hoidmisel vastuvõetavas vahemikus.

Uuringu jätkufaasis said patsiendid individuaalselt optimeeritud Palynziqi annust. Tõendati, et enamikul patsientidest oli 18-kuuline jätkuravi Palynziqiga efektiivne vere fenüülalaniinisalduse vähendamisel ning selle kontrolli all hoidmisel (alla 600 mikromooli liitris).

Mis riskid Palynziqiga kaasnevad?

Palynziqi kõige sagedamad kõrvalnähtud (võivad esineda enam kui 7 patsiendil 10st) on süstekoha reaktsioonid, liigesevalu ja allergilised reaktsioonid. Kõige olulisemad allergilised reaktsioonid on äge süsteemne allergiline reaktsioon, angioödeem (nahaalune turse teatud piirkondades, näiteks nägu, kõri, üla- ja alajäsemed) ning seerumtõbi (loomvalkude või -seerumi põhjustatud allergiline reaktsioon). Palynziqi kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Palynziqit ei tohi kasutada patsiendid, kellel on esinenud allergiline reaktsioon pegvaliaasi, Palynziqi mis tahes muu koostisosa või mis tahes muu pegüleeritud ravimi suhtes.

ELis Palynziqile väljastatud müügiloa põhjendus

Palynziq oli efektiivne vere fenüülalaniinisalduse vähendamisel ja selle kontrolli all hoidmisel. Palynziqi ohutust peeti vastuvõetavaks ning olulisi kõrvalnähte (nt allergilisi reaktsioone) hallatavateks täiendavate rangete meetmete võtmisel (vt allpool). Seetõttu otsustas Euroopa Raviamet, et Palynziqi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja et ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Palynziqi ohutu ja efektiivne kasutamine?

Palynziqi turustaja annab arstidele, patsientidele ja nende hooldajatele teabematerjali Palynziqiga seotud allergiliste reaktsioonide riski kohta, sh kuidas neid kohe ära tunda ja mida teha, kui selline reaktsioon tekib.

Palynziqi ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse Palynziqi kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Palynziqi kõrvaltoimeid hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave ravimi Palynziq kohta

Lisateave Palynziqi kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.