



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Palynziq (*pegvaliase*)

Aperçu de Palynziq et pourquoi il est autorisé dans l'UE

### Qu'est-ce que Palynziq et dans quel cas est-il utilisé?

Palynziq est un médicament utilisé pour traiter la phénylcétonurie (PKU) chez l'adulte et l'adolescent à partir de 16 ans.

Les patients atteints par cette maladie génétique ne parviennent pas à traiter l'acide aminé phénylalanine à partir des protéines alimentaires. Il en résulte une accumulation anormalement élevée d'acide aminé dans le sang, ce qui entraîne des problèmes dans le système nerveux. Palynziq est utilisé chez les patients dont les taux sanguins de phénylalanine n'ont pas été correctement contrôlés par d'autres traitements.

Palynziq a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 28 janvier 2010. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708).

Palynziq contient la substance active pegvaliase.

### Comment Palynziq est-il utilisé?

Palynziq n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin ayant l'expérience du traitement de la PKU. Les taux sanguins de phénylalanine doivent être mesurés avant le début du traitement. Des mesures mensuelles sont recommandées pendant le traitement. Palynziq est destiné à une utilisation à long terme.

Palynziq est disponible sous la forme de seringues préremplies (2,5; 10 et 20 mg) pour injection sous la peau. La dose de départ recommandée est de 2,5 mg une fois par semaine pendant 4 semaines. La dose et la fréquence d'injection sont ensuite augmentées graduellement (jusqu'à un maximum de 60 mg une fois par jour) afin de parvenir à un contrôle adéquat de la phénylalanine. L'administration de Palynziq doit être encadrée par des mesures rigoureuses pour gérer toute réaction allergique grave, en particulier dans les premiers mois.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Palynziq, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Comment Palynziq agit-il?

La substance active contenue dans Palynziq, la pegvaliase, est un enzyme bactérien qui peut dégrader la phénylalanine, arrêtant ainsi la constitution de la phénylalanine dans le corps et contribuant à soulager les symptômes de la phénylcétonurie. L'enzyme contenu dans la pegvaliase est «pégylé» (fixé à une substance chimique appelée PEG), ce qui lui permet de rester dans le corps et d'agir plus longtemps.

## Quels sont les bénéfices de Palynziq démontrés au cours des études?

La principale étude portant sur Palynziq chez les patients atteints de PKU était composée de différentes parties. Tout au long de l'étude, les patients ont dû maintenir un niveau constant d'apport alimentaire en protéines afin de veiller à ce que les fluctuations des niveaux de phénylalanine sanguin puissent être attribuées au traitement plutôt qu'aux changements de l'apport de protéines.

Au cours de la première partie, tous les patients ont reçu Palynziq à une dose de 20 ou 40 mg pendant une durée pouvant atteindre 13 semaines. Quarante-deux patients ayant répondu au traitement (c'est-à-dire ceux dont les taux de phénylalanine dans le sang ont été réduits d'au moins 20%) ont ensuite soit continué à recevoir la même dose de Palynziq soit reçu un placebo (un traitement fictif). Après 8 semaines de traitement, les niveaux sanguins de phénylalanine sont restés sous contrôle chez les patients prenant Palynziq, mais ils sont revenus aux niveaux de prétraitement chez les patients sous placebo, ce qui démontre que Palynziq a été plus efficace que le placebo pour réduire les taux sanguins de phénylalanine et les maintenir dans des limites acceptables.

Au cours de la phase d'extension de l'étude, les patients ont reçu une dose individuelle optimisée de Palynziq. Il a été démontré que chez la majorité des patients, un traitement continu avec Palynziq pendant 18 mois a été efficace pour maintenir les taux de phénylalanine sanguin sous contrôle (en dessous de 600 micromoles par litre).

## Quels sont les risques associés à l'utilisation de Palynziq?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Palynziq (qui peuvent toucher plus de 7 personnes sur dix) sont les réactions au site d'injection, des douleurs au niveau des articulations et des réactions allergiques. Parmi les réactions allergiques les plus significatives figurent les réactions allergiques systémiques aiguës, l'angioedème (gonflement sous la peau dans des zones telles que le visage, la gorge, les bras et les jambes) et la maladie sérique (réaction allergique provoquée par les protéines animales ou le sérum). Pour une description complète des effets indésirables observés sous Palynziq, voir la notice.

Palynziq ne doit pas être utilisé chez les patients présentant une réaction allergique à la pegvaliase, à l'un des autres composants de Palynziq ou à tout autre médicament pégylé.

## Pourquoi Palynziq est-il autorisé dans l'UE?

Il a été démontré que Palynziq était efficace pour réduire les taux de phénylalanine dans le sang et les maintenir sous contrôle. La sécurité de Palynziq est jugée acceptable et des effets secondaires importants, tels que des réactions allergiques, sont considérés comme gérables par des mesures supplémentaires rigoureuses (voir ci-dessous). Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Palynziq sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Palynziq ?**

La société qui commercialise Palynziq fournira du matériel d'information destiné aux médecins et aux patients, ainsi qu'aux soignants, sur le risque de réactions allergiques avec Palynziq, y compris sur la manière de les identifier rapidement et sur ce qu'il convient de faire en cas de réaction.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Palynziq ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Palynziq sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés sous Palynziq sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

### **Autres informations relatives à Palynziq**

De plus amples informations sur Palynziq sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq).