



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvaliase*)

Um resumo sobre Palynziq e porque está autorizado na UE

O que é Palynziq e para que é utilizado?

Palynziq é um medicamento utilizado no tratamento da fenilcetonúria (PKU) em adultos e adolescentes a partir dos 16 anos de idade.

Os doentes com esta doença genética não conseguem transformar o aminoácido fenilalanina da proteína alimentar, pelo que o aminoácido se acumula no sangue a níveis anormalmente elevados, causando problemas no sistema nervoso. Palynziq é utilizado em doentes cujos níveis de fenilalanina no sangue não tenham sido adequadamente controlados com outros tratamentos.

Palynziq foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 28 de janeiro de 2010. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Palynziq contém a substância ativa pegvaliase.

Como se utiliza Palynziq?

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento da PKU. Os níveis de fenilalanina no sangue devem ser medidos antes do início do tratamento. Durante o tratamento, recomenda-se a realização de medições mensais. Palynziq destina-se a tratamento de longa duração.

Palynziq está disponível na forma de seringas pré-cheias (2,5; 10 e 20 mg) para injeção sob a pele. A dose recomendada é 2,5 mg uma vez por dia, ao longo de 4 semanas. A dose e a frequência da injeção são então gradualmente aumentadas (até uma dose máxima de 60 mg uma vez por dia) para obter um controlo adequado dos níveis de fenilalanina no sangue. Palynziq deve ser utilizado com medidas rigorosas para a gestão de quaisquer reações alérgicas graves, especialmente nos primeiros meses.

Para mais informações sobre a utilização de Palynziq, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

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



Como funciona Palynziq?

A substância ativa do Palynziq, pegvaliase, é uma enzima bacteriana que pode decompor a fenilalanina, impedindo assim que a fenilalanina se acumule no organismo, e contribuindo para aliviar os sintomas da fenilcetonúria. A enzima na pegvaliase é “peguilada” (ligada a uma substância química chamada PEG), que lhe permite permanecer no organismo e agir durante mais tempo.

Quais os benefícios demonstrados por Palynziq durante os estudos?

O estudo principal que investiga o Palynziq em doentes com PKU era composto por diferentes partes. Ao longo do estudo, os doentes eram obrigados a manter um nível constante de ingestão de proteínas alimentares, a fim de assegurar que as alterações nos níveis de fenilalanina no sangue poderiam ser atribuídas ao tratamento e não a alterações na ingestão de proteínas.

Durante a primeira parte, foram administrados a todos os doentes uma dose de 20 ou 40 mg de Palynziq por um período máximo de 13 semanas. Oitenta e seis doentes que responderam ao tratamento (ou seja, cujos níveis de fenilalanina no sangue foram reduzidos em pelo menos 20 %), nos casos em que foram mantidos na mesma dose de Palynziq ou receberam um placebo (tratamento simulado). Após 8 semanas de tratamento, os níveis de fenilalanina no sangue mantiveram-se sob controlo nos doentes a tomar Palynziq, mas regressaram aos níveis anteriores ao tratamento nos doentes que receberam o placebo, o que demonstra que o Palynziq foi mais eficaz do que o placebo na redução dos níveis de fenilalanina no sangue e na sua manutenção em níveis aceitáveis.

Na fase de extensão do estudo, os doentes receberam uma dose otimizada individual de Palynziq. Foi demonstrado que, para a maioria dos doentes, a continuação do tratamento com Palynziq durante 18 meses foi eficaz na manutenção dos níveis de fenilalanina no sangue sob controlo (abaixo de 600 micromoles por litro).

Quais são os riscos associados a Palynziq?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Palynziq (que podem afetar mais de 7 em cada 10 pessoas) são reações no local da injeção, dor nas articulações e reações alérgicas. As reações alérgicas mais significativas incluem reação alérgica sistémica aguda, angioedema (inchaço sob a pele em áreas como a face, garganta, braços e pernas) e doença do soro (reação alérgica causada por proteínas animais ou soro). Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente a Palynziq, consulte o Folheto Informativo.

O uso de Palynziq é contraindicado em doentes que tenham tido uma reação alérgica à pegvaliase, a qualquer um dos outros componentes do Palynziq ou a qualquer outro medicamento peguilado.

Porque está Palynziq autorizado na UE?

Palynziq demonstrou ser eficaz na redução dos níveis de fenilalanina no sangue e mantendo-os sob controlo. A segurança de Palynziq é considerada aceitável, e os efeitos secundários importantes, tais como reações alérgicas, são considerados tratáveis com medidas restritivas adicionais (ver abaixo). Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Palynziq são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Palynziq?

A empresa que comercializa Palynziq irá fornecer material informativo aos médicos e aos doentes e prestadores de cuidados sobre o risco de reações alérgicas com o Palynziq, incluindo a forma de os identificar imediatamente e o que fazer em caso de ocorrência de tal reação.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Palynziq.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Palynziq são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Palynziq são cuidadosamente avaliados e são tomadas todas as medidas necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Palynziq:

Mais informações sobre Palynziq podem ser encontradas no sítio da internet da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.