



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Palynziq (*pegvaliase*)

Información general sobre Palynziq y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Palynziq y para qué se utiliza?

Palynziq es un medicamento que se utiliza para tratar la fenilcetonuria (PKU) en adultos y adolescentes a partir de los 16 años.

Los pacientes con estos trastornos no pueden procesar el aminoácido fenilalanina de la proteína dietaria, por lo cual estos aminoácidos aumentan hasta niveles anormalmente elevados en sangre, lo que provoca problemas en el sistema nervioso. Palynziq se utiliza en pacientes cuyo nivel de fenilalanina en sangre no se han controlado de forma adecuada con otros tratamientos.

Palynziq fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 28 de enero de 2010. Puede encontrar más información acerca de la designación como medicamento huérfano en: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309708.

Palynziq contiene el principio activo pegvaliase.

¿Cómo se usa Palynziq?

Palynziq solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe ser iniciado y supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de la PKU. Antes de iniciar el tratamiento hay que medir el nivel de fenilalanina en sangre. Se recomienda realizar mediciones mensuales durante el tratamiento. Palynziq está destinado a un uso prolongado.

Palynziq se vende en jeringas precargadas (2,5, 10 y 20 mg.) de uso subcutáneo. La dosis inicial recomendada es de 2,5 mg una vez al día durante 4 días. A continuación se incrementan gradualmente la dosis y frecuencia (hasta una dosis máxima de 60 mg al día) para alcanzar el control adecuado del nivel de fenilalanina en sangre. Palynziq debe utilizarse con estrictas medidas para tratar posibles reacciones alérgicas, especialmente en los primeros meses.

Para mayor información sobre el uso de Palynziq consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Palynziq?

El principio activo de Palynziq, pegvaliasa, es una enzima bactiviana que puede descomponer la fenilalanina, con lo que se impide la acumulación de la fenilalanina en el cuerpo y contribuye a aliviar los síntomas de la fenilcetonuria. La enzima de la pegvaliasa es «pegilada» (unida a un producto químico llamado PEG), que le permite permanecer en el cuerpo y actuar durante más tiempo.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Palynziq en los estudios realizados?

El estudio principal, que investiga Palynziq en pacientes con PKU, está compuesto de diferentes partes. A lo largo del estudio, los pacientes estaban obligados a mantener un nivel constante de ingesta de proteínas en la dieta, a fin de garantizar que los cambios en los niveles de fenilalanina en sangre pudieran atribuirse al tratamiento más que a cambios en la ingesta de proteínas.

Durante la primera parte, se administró a todos los pacientes Palynziq en una dosis de 20 o 40 mg durante un período de hasta 13 semanas. Ochenta y seis pacientes que respondieron al tratamiento (es decir, cuyos niveles de fenilalanina en sangre se redujeron al menos en un 20 %) recibieron la misma dosis de Palynziq o bien un placebo (un tratamiento ficticio). Después de 8 semanas de tratamiento, los niveles de fenilalanina en sangre se mantuvieron bajo control en los pacientes que tomaron Palynziq, pero volvieron a los niveles de pretratamiento en los pacientes que recibieron placebo, lo que demuestra que Palynziq fue más eficaz que el placebo en la reducción de la concentración de fenilalanina en sangre y su mantenimiento dentro de un rango aceptable.

En la fase de extensión del estudio, los pacientes recibieron una dosis óptima individual de Palynziq. Se demostró que para la mayoría de los pacientes el tratamiento continuado con Palynziq durante 18 meses era eficaz para mantener bajo control los niveles de fenilalanina en sangre (menos de 600 micromoles por litro).

¿Cuáles son los riesgos asociados a Palynziq?

Los efectos adversos más frecuentes de Palynziq (que pueden afectar a más de 7 de cada 10 pacientes) son reacciones en el lugar de inyección, dolor en las articulaciones y reacciones alérgicas. Las reacciones alérgicas más significativas incluyen la reacción alérgica sistémica aguda, el angioedema (hinchazón subcutánea en zonas como la cara, la garganta, los brazos y las piernas) y la enfermedad del suero (reacción alérgica causada por proteínas animales o suero). Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados con Palynziq, ver el prospecto.

Palynziq no debe administrarse a pacientes que hayan tenido una reacción alérgica a la pegvaliasa, a cualquiera de los demás componentes de Palynziq o a cualquier otro medicamento pegilado.

¿Por qué se ha autorizado Palynziq en la UE?

Palynziq se mostró eficaz a la hora de reducir los niveles de fenilalanina en sangre y mantenerlos bajo control. La seguridad de Palynziq se considera aceptable, y los efectos adversos importantes, como las reacciones alérgicas, se consideran controlables con medidas adicionales estrictas (véase más adelante). Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Palynziq son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Palynziq?

La empresa que comercializa Palynziq proporcionará material informativo a los médicos y a los pacientes y cuidadores sobre el riesgo de reacciones alérgicas con Palynziq, incluida la forma de determinarlas rápidamente y de qué hacer en caso de producirse una reacción de este tipo.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Palynziq se han incluido también en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Palynziq se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados con Palynziq se evalúan cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Palynziq:

Puede encontrar información adicional sobre Palynziq en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Palynziq.