

COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene a Medicamentului (European Medicines Agency = EMA) referitor la recomandarea Comitetului EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) privind autorizarea unui nou tratament al fenilcetonuriei, o boală metabolică rară, cu transmitere ereditară

EMA, 1 martie 2019

Comunicat de presă EMA referitor la recomandarea Comitetului EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) privind autorizarea unui nou tratament al fenilcetonuriei, o boală metabolică rară, cu transmitere ereditară

Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) recomandă acordarea autorizației de punere pe piața UE pentru medicamentul Palynziq (pegvaliase), medicament nou indicat pacienților cu vârste peste 16 ani, care suferă de fenilcetonurie, o boală metabolică rară dar posibil gravă, cu transmitere ereditară.

Pacienților care suferă de această tulburare le lipsește enzima care descompune fenilalanina, un aminoacid prezent în majoritatea alimentelor cu conținut de proteine. Ca urmare, fenilalanina se poate acumula în sânge, provocând tulburări la nivelul creierului și sistemului nervos. Pacienții cu această boală pot prezenta tulburări neurologice și psihiatrice, inclusiv deficiențe de intelect, anxietate, depresie și disfuncție neurocognitivă.

Aceasta este o afecțiune incurabilă iar pacienții sunt obligați să urmeze toată viața o dietă strictă în ceea ce privește alimentele care conțin fenilalanină (precum carne, pește, ouă, nuci, leguminoase și porumb), astfel încât să reducă aportul de fenilalanină. Cu toate acestea, majoritatea adulților și adolescenților cu fenilcetonurie nu respectă astfel de restricții alimentare, iar nivelurile de fenilalanină din sânge sunt prea mari. În prezent, în sprijinul gestionării bolii mai există un singur tratament autorizat în Uniunea Europeană. Prin urmare, pacienții ar putea beneficia de opțiuni suplimentare de tratament pentru afecțiunea de care suferă, ceea ce le-ar putea influența semnificativ calitatea vieții.

Medicamentul Palynziq este indicat pacienților cu niveluri excesive de fenilalanină în sânge (concentrații sanguine de fenilalanină > 600 micromoli/l), în ciuda administrării prealabile a opțiunilor terapeutice existente. Noul medicament prezintă un nou mod de acțiune împotriva fenilcetonuriei, acesta conținând fenilalanină amonia-liază pegilată recombinantă, o enzimă care poate descompune fenilalanina, efectul anticipat al acesteia fiind oprirea acumulării de fenilalanină în organism și ameliorarea în acest fel a simptomelor bolii.

În cadrul studiilor clinice de fază II efectuate, majoritatea pacienților tratați cu acest medicament au prezentat niveluri sanguine de fenilalanină ≤ 600 micromol/l după 18 luni de tratament. Totodată, datele au arătat și faptul că, la tratament pe termen lung, simptomele psihiatrice și cognitive ale pacienților s-au ameliorat.

Cele mai frecvente reacții adverse raportate au fost artralgia și reacțiile la locul administrării injecției, inclusiv eritem și erupție cutanată, despre care se consideră a fi în asociere cu reacțiile alergice observate la toți pacienții; majoritatea acestora au fost forme ușoare până la moderate de reacții de hipersensibilitate, formele acute apărând în cazul unui număr redus de pacienți (5,6%). Prin urmare, CHMP a solicitat companiei să instituie măsuri specifice de reducere la minimum a acestui risc, inclusiv prin transmiterea unui material educațional suplimentar adresat medicilor prescriptori și pacienților.

Opinia adoptată de CHMP privitoare la medicamentul Palynziq constituie o etapă intermediară în procesul de punere a acestuia la dispoziția pacientului. În momentul de față, această opinie urmează a fi trimisă către Comisia Europeană în vederea adoptării unei decizii privind acordarea autorizației de punere pe piață valabile în întreaga UE. Odată acordată această autorizație, la nivelul fiecărui stat membru se vor lua deciziile privind prețul și rambursarea, pe baza rolului potențial/utilizării medicamentului în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Note

Solicitantul de autorizare pentru punerea pe piață a medicamentului Palynziq este compania BioMarin International Limited.

Așa cum prevede procedura la momentul aprobării, Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products = COMP), urmează să analizeze desemnarea medicamentului ca orfan și să stabilească astfel dacă informațiile avute la dispoziție permit menținerea statutului de orfan al medicamentului Palynziq și acordarea perioadei de 10 ani de exclusivitate pe piață pentru acest medicament

În prezent, singurul medicament aprobat în UE pentru tratarea fenilcetonuriei este Kuvan (sapropterină).