



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/470231/2023
EMA/H/C/005484

Loargys (*pegzilarginase*)

Общ преглед на Loargys и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Loargys и за какво се използва?

Loargys е лекарство, което се използва за лечение на хора на възраст над 2 години с хипераргининемия.

Пациентите с хипераргининемия не са в състояние да разграждат аминокиселината аргинин, тъй като им липсва чернодробният ензим аргиназа 1. В резултат на това в организма се натрупва аргинин. Това може да причини проблеми с нервната система, включително пристъпи и скованост в краката.

Хипераргининемията се счита за рядко заболяване и Loargys е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 14 юли 2016 г. Further information on the orphan designation can be found on the EMA website: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701](https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701).

Loargys съдържа активното вещество пегзиларгиназа (*pegzilarginase*).

Как се използва Loargys?

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да започне и да се провежда под наблюдението на лекар с опит в лечението на пациенти с наследствени метаболитни заболявания. Първите дози трябва да се прилагат на място с подходящо медицинско оборудване за овладяване на алергичните реакции.

Loargys се прилага веднъж седмично под формата на инфузия (вливане) във вена или като подкожна инжекция. Дозата зависи от теглото на пациента. Тя може да се коригира въз основа на нивата на аргинин в кръвта на пациента. Необходими са редовни кръвни изследвания, за да се наблюдава аргининът и да се коригира дозата, ако е необходимо.

След подходящо обучение пациентите или полагащите грижи за тях могат сами да инжектират Loargys. Преди пациентите да могат да инжектират Loargys, те трябва да са получили лечение в продължение на най-малко 8 седмици и да са на стабилна поддържаща доза. В допълнение, рискът от алергични реакции към Loargys трябва да се оценява като нисък.



Loargys трябва да се използва заедно с други мерки за овладяване на заболяването, включително нископротеинова диета, аминокиселинни добавки и всякакви други лекарства, необходими за овладяване на заболяването.

За повече информация относно употребата на Loargys вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Loargys?

Активното вещество в Loargys, пегзиларгиназа, действа по подобен начин като аргиназа 1 — ензим, който липсва при хора с хипераргининемия. Пегзиларгиназата разгражда излишъка от аргинин от кръвта. Това предотвратява увреждането на мозъка и други органи.

Какви ползи от Loargys са установени в проучванията?

Loargys е сравнен с плацебо (сляпо лечение) в проучване, обхващащо 32 възрастни и деца с хипераргининемия. Основната мярка за ефективност е промяната в нивото на аргинин в кръвта след 24 седмици на лечение. Проучването показва, че нивата на аргинин са спаднали със 77 % при пациентите, лекувани с Loargys, докато при пациентите, на които се прилага плацебо, не се наблюдава намаляване на нивата на аргинин.

Въпреки че проучването също предполага, че Loargys може да подобри двигателната функция в сравнение с плацебо, разликата не е статистически значима (т.е. може да се дължи на случайност). Въпреки това предварителните дългосрочни данни, събрани след 24-седмичния период на лечение, показват, че двигателната функция (ходене и стоене) може да се стабилизира или постепенно да се подобри при продължителна употреба на лекарството.

Какви са рисковете, свързани с Loargys?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Loargys вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Loargys включват алергични реакции (които може да засегнат повече от 1 на 10 души).

Защо Loargys е разрешен за употреба в ЕС?

Показано е, че Loargys намалява нивата на аргинина при пациенти с хипераргининемия. Данните показват също, че продължителното лечение с Loargys постепенно подобрява или стабилизира двигателните умения на пациентите. Въпреки че данните за безопасността са ограничени, като цяло се счита, че нежеланите реакции подлежат на овладяване. Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Loargys са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Loargys е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Loargys поради рядкото разпространение на заболяването. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Тъй като Loargys е разрешен при „извънредни обстоятелства“, към момента на разрешаването фирмата, която предлага Loargys, е трябвало да предоставя годишни актуализации от събирането на данни от две проучвания, основани на регистър, относно дългосрочната ефективност и безопасност на пегзиларгиназата при пациенти с хипераргининемия. Фирмата ще предостави и окончателните резултати от две проучвания относно дълготрайната безопасност, поносимост и

ефективност на пегзиларгиназата при възрастни, юноши и деца с хипераргининемия. Освен това те ще предоставят ежегодна актуализация на всяка нова информация за ефективността и безопасността на лекарството в целевата популация.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Loargys?

Фирмата, която предлага Loargys, ще предостави на пациентите и на лицата, полагащи грижи за тях, обучителни материали за начина на боравене и инжектиране на лекарството, за да ги информира за рисковете от тежки алергични реакции и за необходимостта да се свържат с лекар, ако получат симптоми.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Loargys, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Loargys непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Loargys, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Loargys:

Допълнителна информация за Loargys можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.