



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Loargys (*pegzilargináza*)

Přehled pro přípravek Loargys a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Loargys a k čemu se používá?

Loargys je léčivý přípravek používaný k léčbě osob ve věku od 2 let s hyperargininemií.

Pacienti s hyperargininemií nejsou schopni odbourávat aminokyselinu arginin, protože jim chybí jaterní enzym argináza 1. V důsledku toho se v těle arginin hromadí. To může způsobit problémy s nervovým systémem, včetně křečí a ztuhlosti nohou.

Hyperargininemie je vzácné onemocnění a přípravek Loargys byl označen dne 14. července 2016 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury EMA [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701](https://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701).

Přípravek Loargys obsahuje léčivou látku pegzilargináza.

### Jak se přípravek Loargys používá?

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčbu má zahájit a sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou pacientů s dědičnými metabolickými onemocněními. První dávky by měly být podány v místě s odpovídající lékařskou podporou pro zvládnutí alergických reakcí.

Přípravek Loargys se podává jednou týdně ve formě infuze (kapačky) do žíly nebo injekcí pod kůži. Dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta a může být upravena podle hladiny argininu v krvi pacienta. Ke sledování argininu a případné úpravě dávky jsou nutné pravidelné krevní testy.

Po patřičném zaškolení mohou přípravek Loargys injekčně podávat sami pacienti nebo osoby, které je ošetřují. Nežli si pacienti mohou injekčně podat přípravek Loargys, musí být léčeni po dobu nejméně 8 týdnů a musí jim být stanovena stabilní udržovací dávka. Kromě toho u nich musí být riziko alergických reakcí na přípravek Loargys vyhodnoceno jako nízké.

Přípravek Loargys by měl být užíván v kombinaci s jinými způsoby léčby tohoto onemocnění, včetně diety s nízkým obsahem proteinů, podávání doplňků stravy s aminokyselinami a případných dalších léků potřebných ke zvládnutí onemocnění.

Více informací o používání přípravku Loargys naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

---

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

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

An agency of the European Union



## **Jak přípravek Loargys působí?**

Účinná látka v přípravku Loargys, pegzilargináza, působí podobně jako argináza 1, tedy jako enzym, který osobám s hyperargininemií chybí. Pegzilargináza odbourává přebytečný arginin z krve. Tím se brání poškození mozku a dalších orgánů.

## **Jaké přínosy přípravku Loargys byly prokázány v průběhu studií?**

Ve studii zahrnující 32 dospělých a dětí s hyperargininemií byl Loargys porovnáván s placebem (neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti byla změna hladiny argininu v krvi po 24 týdnech léčby. Studie ukázala, že u pacientů léčených přípravkem Loargys došlo ke snížení hladiny argininu o 77 %, zatímco u pacientů, kterým bylo podáváno placebo, ke snížení hladiny argininu nedošlo.

Ačkoli studie také naznačila, že přípravek Loargys může ve srovnání s placebem zlepšit motorické funkce, tento rozdíl nebyl statisticky významný (tj. může být náhodný). Předběžné dlouhodobé údaje shromážděné po 24týdenní době léčby však naznačují, že motorické funkce (chůze a stání) se mohou při dlouhodobém užívání přípravku stabilizovat nebo postupně zlepšovat.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Loargys?**

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Loargys je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Loargys (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou alergické reakce.

## **Na základě čeho byl přípravek Loargys registrován v EU?**

Bylo prokázáno, že Loargys snižuje hladinu argininu u pacientů s hyperargininemií. Údaje rovněž naznačily, že dlouhodobá léčba přípravkem Loargys postupně zlepšuje nebo stabilizuje motorické schopnosti pacientů. Přestože jsou údaje o bezpečnosti přípravku omezené, nežádoucí účinky jsou obecně považovány za zvladatelné. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Loargys převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Loargys byl registrován „za výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Loargys získat úplné informace. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

Vzhledem k tomu, že přípravek Loargys byl registrován za výjimečných okolností, byla společnost, která přípravek Loargys dodává na trh, v době registrace stanovena povinnost každoročně poskytovat aktualizované údaje ohledně shromažďování dat ze dvou studií na bázi registrů týkajících se dlouhodobé účinnosti a bezpečnosti pegzilarginázy u pacientů s hyperargininemií. Společnost rovněž poskytne konečné výsledky dvou studií dlouhodobé bezpečnosti, snášenlivosti a účinnosti pegzilarginázy u dospělých, dospívajících a dětí s hyperargininemií. Rovněž bude každoročně poskytovat aktualizace veškerých nových informací týkajících se účinnosti a bezpečnosti léčivého přípravku u cílové populace.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Loargys?**

Společnost, která přípravek Loargys dodává na trh, poskytne pacientům a ošetřovatelům edukační materiály týkající se toho, jak s přípravkem zacházet a jak jej injekčně podávat, a bude je informovat

o rizicích závažných alergických reakcí a o nutnosti obrátit se na lékaře, pokud se u pacientů objeví příznaky.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Loargys, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Loargys průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Loargys jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

## **Další informace o přípravku Loargys**

Další informace o přípravku Loargys jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys).