



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilarginase*)

En oversigt over Loargys, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Loargys, og hvad anvendes det til?

Loargys er et lægemiddel, der anvendes til behandling af personer fra 2 år med hyperargininæmi.

Patienter med hyperargininæmi kan ikke nedbryde aminosyren arginin, fordi de mangler leverenzymet arginase 1. Som følge heraf ophobes arginin i kroppen. Dette kan medføre problemer med nervesystemet, herunder krampeanfald og stivhed i benene.

Hyperargininæmi er sjælden, og Loargys blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 14. juli 2016. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme findes på EMA's websted: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys indeholder det aktive stof pegzilarginase.

Hvordan anvendes Loargys?

Lægemidlet fås kun på recept, og behandling bør indledes og overvåges af en læge med erfaring inden for behandling af patienter med arvelige metaboliske sygdomme. De første doser bør gives i omgivelser med passende medicinsk støtte til at håndtere allergiske reaktioner.

Loargys gives én gang om ugen som infusion (drop) i en vene eller som injektion under huden. Dosen afhænger af patientens vægt; den kan tilpasses efter indholdet af arginin i patientens blod. Der er behov for regelmæssige blodprøver for at overvåge indholdet af arginin og om nødvendigt justere dosen.

Patienter eller deres omsorgspersoner kan selv indgive Loargys, når de er blevet behørigt instrueret heri. Før patienter kan komme til at indgive Loargys, skal de have modtaget behandling i mindst 8 uger og være på en stabil vedligeholdelsesdosis. Desuden skal deres risiko for allergiske reaktioner på Loargys vurderes som lav.

Loargys bør anvendes sammen med andre foranstaltninger til at håndtere sygdommen, herunder kost med lavt proteinindhold, aminosyretilskud og andre lægemidler, der er nødvendige for at håndtere sygdommen.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Loargys, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.



Hvordan virker Loargys?

Det aktive stof i Loargys, pegzilarginase, virker på samme måde som arginase 1, det enzym, der mangler hos personer med hyperargininæmi. Pegzilarginase nedbryder overskydende arginin fra blodet. Dette forhindrer skader på hjernen og andre organer.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Loargys?

Loargys blev sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling) i et studie blandt 32 voksne og børn med hyperargininæmi. Virkningen blev hovedsageligt målt ud fra ændringen i indholdet af arginin i blodet efter 24 ugers behandling. Studiet viste, at indholdet af arginin blev reduceret med 77 % hos de patienter, der blev behandlet med Loargys, mens der ikke var nogen reduktion i indholdet af arginin hos de patienter, der fik placebo.

Selv om studiet også tydede på, at Loargys kan forbedre den motoriske funktion sammenlignet med placebo, var forskellen ikke statistisk signifikant (dvs. den kan skyldes tilfældigheder). Foreløbige langtidsdata indsamlet efter den 24 uger lange behandlingsperiode viste imidlertid, at den motoriske funktion (gående og stående) kan stabilisere sig eller gradvist forbedres ved langvarig brug af lægemidlet.

Hvilke risici er der forbundet med Loargys?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Loargys fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Loargys (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) omfatter allergiske reaktioner.

Hvorfor er Loargys godkendt i EU?

Det blev påvist, at Loargys reducerer indholdet af arginin hos patienter med hyperargininæmi. Det fremgik også, at langvarig behandling med Loargys gradvist forbedrer eller stabiliserer patienternes motoriske færdigheder. Selv om oplysningerne om sikkerheden er begrænsede, anses bivirkningerne generelt for at være håndterbare. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Loargys opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Loargys er blevet godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Loargys. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Da Loargys blev godkendt under særlige omstændigheder, skulle virksomheden, der markedsfører Loargys, på tidspunktet for godkendelsen fremlægge årlige opdateringer om indsamlingen af oplysninger fra to registerbaserede studier vedrørende den langsigtede virkning og sikkerhed ved brug af pegzilarginase hos patienter med hyperargininæmi. Virksomheden vil desuden fremlægge de endelige resultater fra to studier vedrørende den langsigtede sikkerhed, tolerabilitet og virkning ved brug af pegzilarginase hos voksne, unge og børn med hyperargininæmi. Den vil desuden årligt ajourføre alle nye oplysninger om lægemidlets virkning og sikkerhed ved brug hos den tilsigtede population.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Loargys anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Loargys, vil udlevere undervisningsmateriale til patienter og omsorgsgivere om, hvordan de håndterer og indgiver lægemidlet, og om risikoen for alvorlige allergiske reaktioner og behovet for at kontakte lægen, hvis de oplever symptomer.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Loargys anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Loargys løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Loargys vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Loargys

Yderligere information om Loargys findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.