



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*Pegzilarginase*)

Übersicht über Loargys und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Loargys und wofür wird es angewendet?

Loargys ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Personen ab einem Alter von 2 Jahren mit Hyperargininämie.

Patienten mit Hyperargininämie können die Aminosäure Arginin nicht abbauen, da ihnen das Leberenzym Arginase 1 fehlt. Dadurch sammelt sich Arginin im Körper an. Dies kann zu Problemen mit dem Nervensystem führen, zum Beispiel zu Krampfanfällen und Steifigkeit in den Beinen.

Hyperargininämie ist selten, und Loargys wurde am 14. Juli 2016 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zu den Ausweisungen als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den Internetseiten der EMA:

ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys enthält den Wirkstoff Pegzilarginase.

Wie wird Loargys angewendet?

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem Arzt eingeleitet und überwacht werden, der in der Behandlung von Patienten mit vererbten Stoffwechselerkrankungen erfahren ist. Die ersten Dosen sollten an einem Ort mit angemessener medizinischer Unterstützung zur Behandlung allergischer Reaktionen angewendet werden.

Loargys wird einmal wöchentlich als Infusion (Tropf) in eine Vene oder als Injektion unter die Haut gegeben. Die Dosis hängt vom Körpergewicht des Patienten ab und kann je nach den Arginin-Konzentrationen im Blut des Patienten angepasst werden. Es sind regelmäßige Blutuntersuchungen erforderlich, um Arginin zu überwachen und gegebenenfalls die Dosis anzupassen.

Nach entsprechender Einweisung können Patienten oder Betreuungspersonen Loargys selbst injizieren. Bevor die Patienten Loargys injizieren können, müssen sie mindestens 8 Wochen lang behandelt worden sein und eine stabile Erhaltungsdosis erhalten. Darüber hinaus muss ihr Risiko für allergische Reaktionen auf Loargys als niedrig eingestuft worden sein.

Loargys sollte zusammen mit anderen Maßnahmen zur Behandlung der Krankheit angewendet werden, einschließlich einer eiweißarmen Ernährung, Aminosäure-Ergänzungsmitteln und etwaiger anderer Arzneimittel, die für die Behandlung der Krankheit erforderlich sind.

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



Weitere Informationen zur Anwendung von Loargys entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Loargys?

Der Wirkstoff in Loargys, Pegzilarginase, wirkt auf ähnliche Weise wie Arginase 1, das Enzym, das Patienten mit Hyperargininämie fehlt. Pegzilarginase baut überschüssiges Arginin im Blut ab. Dadurch wird eine Schädigung des Gehirns und anderer Organe verhindert.

Welchen Nutzen hat Loargys in den Studien gezeigt?

In einer Studie, an der 32 Erwachsene und Kinder mit Hyperargininämie teilnahmen, wurde Loargys mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung der Konzentration von Arginin im Blut nach 24-wöchiger Behandlung. Die Studie ergab, dass die Argininspiegel bei den mit Loargys behandelten Patienten um 77 % gesenkt wurden, während bei den Patienten, die Placebo erhielten, keine Verringerung der Argininspiegel festzustellen war.

Obwohl die Studie auch darauf schließen ließ, dass Loargys die motorische Funktion im Vergleich zu Placebo eventuell verbessern könnte, war der Unterschied statistisch nicht signifikant (d. h. er könnte zufallsbedingt sein). Vorläufige längerfristige Daten, die über den 24-wöchigen Behandlungszeitraum hinaus erhoben wurden, wiesen jedoch darauf hin, dass sich die motorische Funktion (Gehen und Stehen) bei langfristiger Anwendung des Arzneimittels stabilisieren oder allmählich verbessern kann.

Welche Risiken sind mit Loargys verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Loargys ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Loargys (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können), sind allergische Reaktionen.

Warum wurde Loargys in der EU zugelassen?

Es wurde gezeigt, dass Loargys den Argininspiegel bei Patienten mit Hyperargininämie senkte. Die Daten deuten auch darauf hin, dass eine langfristige Behandlung mit Loargys die motorischen Fähigkeiten der Patienten allmählich verbessert oder stabilisiert. Obwohl die Sicherheitsdaten begrenzt sind, werden die Nebenwirkungen im Allgemeinen als beherrschbar erachtet. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Loargys gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Loargys wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Loargys zu erlangen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Übersicht wird gegebenenfalls aktualisiert.

Da Loargys unter außergewöhnlichen Umständen zugelassen wurde, wurde das Unternehmen, das Loargys in Verkehr bringt, zum Zeitpunkt der Zulassung ersucht, jährliche Aktualisierungen zur Erhebung von Daten aus zwei registerbasierten Studien zur langfristigen Wirksamkeit und Sicherheit von Pegzilarginase bei Patienten mit Hyperargininämie vorzulegen. Das Unternehmen wird außerdem die Abschlussergebnisse aus zwei Studien zur langfristigen Sicherheit, Verträglichkeit und Wirksamkeit von Pegzilarginase bei Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern mit Hyperargininämie vorlegen. Außerdem wird es jährlich aktuelle Informationen über die Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels bei den vorgesehenen Patienten bereitstellen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Loargys ergriffen?

Das Unternehmen, das Loargys in Verkehr bringt, wird Patienten und Betreuungspersonen Informationsmaterial über die Handhabung und Injektion des Arzneimittels zur Verfügung stellen, um sie auf die Risiken schwerer allergischer Reaktionen und die Notwendigkeit, bei Auftreten von Symptomen den zuständigen Arzt zu kontaktieren, hinzuweisen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Loargys, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Loargys kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Loargys werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Loargys

Weitere Informationen zu Loargys finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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