



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (πεγκζιλαργινάση)

Ανασκόπηση του Loargys και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Loargys και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Loargys είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ατόμων ηλικίας 2 ετών και άνω με υπεραργινιναιμία.

Οι ασθενείς με υπεραργινιναιμία δεν μπορούν να διασπούν το αμινοξύ αργινίνη λόγω έλλειψης του ηπατικού ενζύμου αργινάση 1. Ως εκ τούτου, η αργινίνη συσσωρεύεται στον οργανισμό. Αυτό μπορεί να προκαλέσει προβλήματα στο νευρικό σύστημα, συμπεριλαμβανομένων των επιληπτικών κρίσεων και της δυσκαμψίας στα πόδια.

Η υπεραργινιναιμία είναι «σπάνια» και το Loargys χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 14 Ιουλίου 2016. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε στον δικτυακό τόπο του EMA: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Το Loargys περιέχει τη δραστική ουσία πεγκζιλαργινάση.

Πώς χρησιμοποιείται το Loargys;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιούνται από γιατρό με εμπειρία στην αντιμετώπιση ασθενών με κληρονομικές μεταβολικές παθήσεις. Οι πρώτες δόσεις πρέπει να χορηγούνται σε χώρο με την κατάλληλη ιατρική υποστήριξη για τη διαχείριση των αλλεργικών αντιδράσεων.

Το Loargys χορηγείται μία φορά την εβδομάδα, με ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση) ή με υποδόρια ένεση. Η δόση εξαρτάται από το σωματικό βάρος του ασθενούς και μπορεί να προσαρμοστεί ανάλογα με τα επίπεδα αργινίνης στο αίμα του ασθενούς. Απαιτούνται τακτικές αιματολογικές εξετάσεις για την παρακολούθηση της αργινίνης και την προσαρμογή της δόσης, εάν είναι απαραίτητο.

Οι ασθενείς ή τα άτομα που τους φροντίζουν μπορούν να χορηγούν οι ίδιοι με ένεση το Loargys, ύστερα από κατάλληλη εκπαίδευση. Πριν από τη χορήγηση της ένεσης με Loargys, οι ασθενείς πρέπει να έχουν υποβληθεί σε θεραπεία για τουλάχιστον 8 εβδομάδες και να ακολουθούν σταθερή δόση συντήρησης. Επιπλέον, ο κίνδυνος αλλεργικών αντιδράσεων που διατρέχουν οι ασθενείς με το Loargys πρέπει να αξιολογηθεί ως χαμηλός.

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



Το Loargys πρέπει να χρησιμοποιείται σε συνδυασμό με άλλα μέτρα για τη διαχείριση της πάθησης, όπως διατροφή χαμηλής περιεκτικότητας σε πρωτεΐνες, συμπληρώματα αμινοξέων και οποιαδήποτε άλλα φάρμακα που απαιτούνται για τη διαχείριση της πάθησης.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Loargys, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Loargys;

Η δραστική ουσία του Loargys, η πεγκζιλαργινάση, δρα με παρόμοιο τρόπο με την αργινάση 1, το ένζυμο που παρουσιάζει έλλειψη σε άτομα με υπεραργινιναιμία. Η πεγκζιλαργινάση διασπά την περίσσεια αργινίνης από το αίμα. Με τον τρόπο αυτό αποτρέπεται η πρόκληση βλάβης στον εγκέφαλο και σε άλλα όργανα.

Ποια είναι τα οφέλη του Loargys σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Loargys συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) σε μια μελέτη στην οποία μετείχαν 32 ενήλικες και παιδιά με υπεραργινιναιμία. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μεταβολή στα επίπεδα της αργινίνης στο αίμα έπειτα από 24 εβδομάδες θεραπείας. Η μελέτη κατέδειξε ότι τα επίπεδα αργινίνης μειώθηκαν κατά 77% στους ασθενείς που έλαβαν Loargys, ενώ δεν υπήρξε μείωση στα επίπεδα αργινίνης στους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Παρότι από τη μελέτη προέκυψε επίσης ότι το Loargys μπορεί να βελτιώσει την κινητική λειτουργία σε σύγκριση με το εικονικό φάρμακο, η διαφορά δεν ήταν στατιστικά σημαντική (δηλ. ενδέχεται να είναι τυχαία). Ωστόσο, τα προκαταρκτικά δεδομένα μεγαλύτερης διάρκειας, τα οποία συγκεντρώθηκαν μετά την περίοδο θεραπείας των 24 εβδομάδων, κατέδειξαν ότι η κινητική λειτουργία (βάδιση και στάση σε όρθια θέση) μπορεί να σταθεροποιηθεί ή να βελτιωθεί σταδιακά με τη μακροχρόνια χρήση του φαρμάκου.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Loargys;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Loargys περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Loargys περιλαμβάνουν αλλεργικές αντιδράσεις (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Loargys στην ΕΕ;

Το Loargys αποδείχθηκε ότι μειώνει τα επίπεδα της αργινίνης σε ασθενείς με υπεραργινιναιμία. Τα δεδομένα κατέδειξαν επίσης ότι η μακροχρόνια θεραπεία με Loargys βελτιώνει ή σταθεροποιεί σταδιακά τις κινητικές δεξιότητες των ασθενών. Παρά το γεγονός ότι τα δεδομένα σχετικά με την ασφάλεια είναι περιορισμένα, οι ανεπιθύμητες ενέργειες θεωρούνται γενικά αντιμετωπίσιμες. Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αποφάσισε ότι τα οφέλη του Loargys υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Loargys εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», διότι, λόγω της σπανιότητας της πάθησης, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Loargys. Ο Οργανισμός θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα ανασκόπηση θα ενημερώνεται αναλόγως.

Δεδομένου ότι το Loargys εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», κατά τον χρόνο χορήγησης της άδειας κυκλοφορίας ζητήθηκε από την εταιρεία που εμπορεύεται το Loargys να παρέχει ετήσιες επικαιροποιήσεις σχετικά με τη συλλογή δεδομένων από δύο μελέτες βάσει μητρώου σχετικά με τη μακροχρόνια αποτελεσματικότητα και ασφάλεια της πεγκζιλαργινάσης σε ασθενείς με υπεραργινιναιμία. Η εταιρεία θα παράσχει επίσης τα τελικά αποτελέσματα δύο μελετών σχετικά με τη μακροπρόθεσμη ασφάλεια, την ανεκτικότητα και την αποτελεσματικότητα της πεγκζιλαργινάσης σε ενήλικες, εφήβους και παιδιά με υπεραργινιναιμία. Επίσης, θα παρέχει ετήσια ενημέρωση σχετικά με τυχόν νέες πληροφορίες για την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια του φαρμάκου στον πληθυσμό για τον οποίο προορίζεται το φάρμακο.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Loargys;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Loargys θα παράσχει στους ασθενείς και στα άτομα που τους φροντίζουν εκπαιδευτικό υλικό σχετικά με τον τρόπο χειρισμού και χορήγησης του φαρμάκου, προκειμένου να τους ενημερώσει σχετικά με τους κινδύνους σοβαρών αλλεργικών αντιδράσεων και την ανάγκη επικοινωνίας με τον γιατρό τους σε περίπτωση εμφάνισης συμπτωμάτων.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν, επίσης, συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Loargys.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Loargys τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Loargys θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Loargys

Περισσότερες πληροφορίες για το Loargys διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.