



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegsilarginaas*)

Ülevaade ravimist Loargys ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Loargys ja milleks seda kasutatakse?

Loargys on ravim, mida kasutatakse hüperarginineemiaga vähemalt 2-aastaste patsientide raviks.

Hüperarginineemiaga patsiendid ei suuda lagundada aminohapet arginiini, sest neil puudub maksaensüüm arginaas 1. Selle tulemusena akumulereerub arginiin organismis. See võib põhjustada närvisüsteemi probleeme, sealhulgas epilepsiahooge ja jalgade jäikust.

Hüperarginineemia esineb harva ja Loargys nimetati 14. juulil 2016 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on EMA veebilehel:

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

Loargys sisaldab toimeainet pegsilarginaasi.

Kuidas Loargyst kasutatakse?

Loargys on retseptiravim. Ravi peab alustama pärilike ainevahetushaigustega patsientide ravis kogenud arst ning see peab toimuma tema järelevalve all. Esimesed annused tuleb manustada kohas, kus on olemas asjakohane meditsiiniline tugi allergiliste reaktsioonide raviks.

Loargyst manustatakse üks kord nädalas veeniinfusioonina või subkutaanse (nahaaluse) süstena. Annus sõltub patsiendi kehamassist ja seda võib kohandada vastavalt arginiini sisaldusele patsiendi veres. Arginiinisalduse jälgimiseks ja vajaduse korral annuse kohandamiseks tuleb teha regulaarseid vereanalüüse.

Kui patsiendid või nende hooldajad on saanud asjakohase väljaõppe, võivad nad süstida Loargyst ise. Enne kui patsiendid tohivad Loargyst ise süstida, peavad nad olema saanud ravi vähemalt 8 nädalat ja kasutama stabiilset säilitusannust. Lisaks peab neil hinnangu kohaselt olema väike risk allergiliste reaktsioonide tekkeks Loargyse suhtes.

Loargyst tuleb kasutada koos teiste haiguse ravimeetmetega, sealhulgas väikse valgusisaldusega dieedi, aminohappelisandite ja muude haiguse raviks vajalike ravimitega.

Lisateavet Loargyse kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

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



Kuidas Loargys toimib?

Loargyse toimeaine pegsilarginaas toimib samamoodi nagu hüperarginineemiaga inimestel puuduv ensüüm arginaas 1. Pegsilarginaas lagundab veres liigset arginiini. See aitab vältida aju ja muude organite kahjustusi.

Mis on uuringute põhjal Loargyse kasulikkus?

Loargyst võrreldi platseeboga (näiv ravim) uuringus, milles osales 32 hüperarginineemiaga täiskasvanut ja last. Efektiivsuse põhinäitaja oli arginiini sisalduse muutus veres pärast 24-nädalast ravi. Uuring tõendas, et Loargysega ravitud patsientidel vähenes arginiinisaldus 77% võrra, samas kui platseebopatsientidel ei täheldatud arginiinisalduse vähenemist.

Kuigi uuringus leiti, et Loargys võib võrreldes platseeboga parandada ka mootorset funktsiooni, ei olnud erinevus statistiliselt oluline (st see võis olla juhuleid). Pärast 24-nädalast raviperioodi kogutud esialgsed pikaajalised andmed näitasid siiski, et motoorne funktsioon (kõndimine ja seismine) võib ravimi pikaajalisel kasutamisel stabiliseeruda või järk-järgult paraneda.

Mis on Loargyse riskid?

Loargyse kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Loargyse kõige sagedamad kõrvalnähud on näiteks allergilised reaktsioonid (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st).

Miks Loargys ELis heaks kiideti?

Uuringute kohaselt vähendab Loargys hüperarginineemiaga patsientidel arginiinisaldust. Andmed näitasid ka, et pikaajaline ravi Loargysega järk-järgult parandab või stabiliseerib patsientide mootorikat. Kuigi ravimi ohutusandmed on piiratud, peetakse kõrvalnähte üldiselt hallatavaks. Euroopa Ravimiamet otsustas, et Loargyse kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Loargys on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Loargyse kohta täielikku teavet. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

Et Loargys kiideti heaks erandkorras, nõuti ravimi turustajalt müügiloa andmise ajal, et ta esitaks edaspidi kord aastas ajakohastatud andmeid kahest registripõhisest uuringust, milles vaadeldakse pegsilarginaasi pikaajalist efektiivsust ja ohutust hüperarginineemiaga patsientidel. Ettevõtte esitab ka lõplikud tulemused kahest uuringust, mis käsitlevad pegsilarginaasi pikaajalist ohutust, talutavust ja efektiivsust hüperarginineemiaga täiskasvanutel, noorukitel ja lastel. Samuti esitab ettevõtte igal aastal uue teabe ravimi efektiivsuse ja ohutuse kohta sihtpopulatsioonis.

Mis meetmed võetakse, et tagada Loargyse ohutu ja efektiivne kasutamine?

Loargyse turustaja annab patsientidele ja hooldajatele teabematerjalid, kuidas ravimit käsitseda ja süstida, et teavitada neid raskete allergiliste reaktsioonide riskist ja vajadusest pöörduda sümptomite ilmnemisel arsti poole.

Loargyse ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Loargyse kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Loargyse oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Loargyse kohta

Lisateave Loargyse kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.