



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegtsilarginaasi*)

Yleistiedot Loargys-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Loargys on ja mihin sitä käytetään?

Loargys on lääke, jota käytetään hyperargininemian hoitoon vähintään 2-vuotiailla potilailla.

Hyperargininemiaa sairastavilla potilailla on arginaasi 1 -maksientsyymin puutos, minkä vuoksi elimistö ei pysty hajottamaan arginiiniksi kutsuttua aminohappoa. Tämän seurauksena arginiini kerääntyy elimistöön. Tämä voi aiheuttaa hermostoon liittyviä ongelmia, kuten kohtauksia ja jalkojen jäykkyyttä.

Hyperargininemia on harvinainen sairaus, ja Loargys nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 14. heinäkuuta 2016. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn verkkosivustolla ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargysin vaikuttava aine on pegtsilarginaasi.

Miten Loargysia käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa vain lääkäri, jolla on kokemusta perinnöllisiä aineenvaihduntasairauksia sairastavien potilaiden hoidosta, ja tällaisen lääkärin tulee myös valvoa hoitoa. Ensimmäiset annokset on annettava paikassa, jossa on saatavilla asianmukaista lääketieteellistä hoitoa allergisten reaktioiden varalta.

Loargys annetaan kerran viikossa infuusiona (tiputuksena) laskimoon tai injektiona ihon alle. Annos määräytyy potilaan painon mukaan, ja sitä voidaan mukauttaa potilaan veren arginiinipitoisuuden perusteella. Hoidon aikana on otettava säännöllisesti verikokeita arginiinipitoisuuden seuraamiseksi ja annoksen mukauttamiseksi tarvittaessa.

Potilas itse tai häntä hoitava henkilö voi antaa Loargys-injektion saatuaan siihen asianmukaisen opastuksen. Ennen kuin potilaat voivat itse pistää Loargys-injektion, heidän on täytynyt saada hoitoa vähintään 8 viikon ajan ja ylläpitoannos on vakiintunut tietylle tasolle. Lisäksi Loargysin allergisten reaktioiden arvioitun riskin on oltava pieni.

Loargys-valmistetta käytetään yhdessä muiden sairauden hallintaan liittyvien toimenpiteiden kanssa. Niitä ovat esimerkiksi vähäproteiininen ruokavalio, aminohappolisät ja muu taudin hoidossa tarvittava lääkitys.

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



Lisätietoja Loargysin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Loargys vaikuttaa?

Loargysin vaikuttava aine pegtsilarginaasi vaikuttaa samalla tavoin kuin arginaasi 1 -entsyymi, joka puuttuu hyperargininemiaa sairastavilta ihmisillä. Pegtsilarginaasi hajottaa ylimääräistä arginiinia veressä. Tämä estää aivojen ja muiden elinten vaurioita.

Mitä hyötyä Loargys-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Loargys-valmistetta verrattiin lumelääkkeeseen tutkimuksessa, johon osallistui 32 hyperargininemiaa sairastavaa aikuista ja lasta. Tehon pääasiallisena mittana oli veren arginiinipitoisuuden muutos 24 hoitoviikon jälkeen. Tutkimus osoitti, että arginiinipitoisuus pieneni 77 prosenttia Loargys-hoitoa saaneilla potilailla, kun se ei laskenut lainkaan lumelääkettä saaneilla potilailla.

Tutkimuksessa oli myös viitteitä siitä, että Loargys saattaa parantaa motoriikkaa lumelääkkeeseen verrattuna. Ero ei kuitenkaan ollut tilastollisesti merkitsevä (eli ero voi johtua sattumasta). Alustavat 24 viikon hoitajakson jälkeen kerätyt pidemmän aikavälin tiedot osoittivat kuitenkin, että motorinen toiminta (kävely ja seisominen) voi vakautua tai parantua vähitellen, kun lääkettä käytetään pitkäaikaisesti.

Mitä riskejä Loargysiin liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Loargysin ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Loargys-valmisteen yleisimmät haittavaikutukset ovat allergiset reaktiot (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä).

Miksi Loargys on hyväksytty EU:ssa?

Loargysin osoitettiin vähentävän veren arginiinipitoisuutta hyperargininemiaa sairastavilla potilailla. Tiedot osoittivat myös, että pitkäaikainen Loargys-hoito parantaa vähitellen potilaiden motorisia taitoja tai vakauttaa ne. Vaikka turvallisuustiedot ovat rajallisia, haittavaikutusten katsotaan yleisesti olevan hallittavissa. Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Loargysista saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Loargys on saanut myyntiluvan ns. poikkeuksellisissa olosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Loargys-valmisteesta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Koska Loargysille annettiin myyntilupa poikkeusolosuhteissa, myyntiluvan myöntämisen ajankohtana Loargys-lääkevalmistetta markkinoivan yhtiön edellytettiin toimittavan vuosittain päivitettyt tiedot kahdesta rekisteritutkimuksesta, joissa tarkasteltiin pegtsilarginaasin pitkäaikaista tehoa ja turvallisuutta hyperargininemiaa sairastavilla potilailla. Yhtiö toimittaa myös lopulliset tulokset kahdesta tutkimuksesta, joissa tarkastellaan pegtsilarginaasin pitkäaikaista turvallisuutta, siedettävyyttä ja tehoa hyperargininemiaa sairastavilla aikuisilla, nuorilla ja lapsilla. Lisäksi yhtiö toimittaa vuosittain päivitettyt tiedot kaikista uusista tiedoista, jotka koskevat lääkkeen tehoa ja turvallisuutta kohdepopulaatiossa.

Miten voidaan varmistaa Loargysin turvallinen ja tehokas käyttö?

Loargys-valmistetta markkinoiva yhtiö toimittaa potilaille ja potilaiden hoitajille perehdytysaineistoa siitä, miten lääkettä käsitellään ja miten se pistetään. Aineistossa kerrotaan myös vaikeiden allergisten reaktioiden riskeistä ja tarpeesta ottaa yhteyttä lääkäriin, jos oireita ilmenee.

Suosituksset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Loargysin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Loargysin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Loargys-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Loargys-valmisteesta

Lisätietoja Loargys-valmisteesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.