



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilarginase*)

Aperçu de Loargys et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Loargys et dans quel cas est-il utilisé?

Loargys est un médicament utilisé pour traiter l'hyperargininémie chez les personnes âgées de deux ans et plus.

Les patients atteints d'hyperargininémie présentent un déficit en enzyme hépatique arginase-1, ce qui empêche leur organisme de décomposer un acide aminé appelé arginine. Ceci entraîne une accumulation d'arginine dans le corps. Cette accumulation peut provoquer des troubles du système nerveux, notamment des crises d'épilepsie et une raideur des jambes.

L'hyperargininémie est rare et Loargys a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 14 juillet 2016. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le site web de l'EMA:
ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys contient la substance active pegzilarginase.

Comment Loargys est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et supervisé par un médecin expérimenté dans le traitement des patients atteints de maladies métaboliques héréditaires. Les premières doses doivent être administrées dans un lieu offrant un cadre médical approprié pour la prise en charge des réactions allergiques.

Loargys est administré une fois par semaine, par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine ou par injection sous la peau. La dose dépend du poids du patient; elle peut être ajustée en fonction de ses taux sanguins d'arginine. Des analyses sanguines régulières sont nécessaires pour surveiller le taux d'arginine et ajuster la dose si nécessaire.

Les patients peuvent s'injecter eux-mêmes Loargys ou leurs soignants peuvent s'en charger, après avoir reçu une formation appropriée. Avant de pouvoir s'injecter Loargys, les patients doivent avoir suivi le traitement pendant au moins huit semaines et recevoir une dose d'entretien stable. En outre, leur risque de réactions allergiques à Loargys doit être évalué comme faible.



Loargys doit être associé à d'autres mesures de prise en charge, notamment un régime alimentaire à faible teneur en protéines, des compléments d'acides aminés et tout autre médicament nécessaire à la prise en charge de la maladie.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Loargys, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Loargys agit-il?

La substance active de Loargys, la pegzilarginase, agit de la même manière que l'arginase-1, l'enzyme qui manque chez les personnes atteintes d'hyperargininémie. La pegzilarginase décompose l'excès d'arginine présent dans le sang. Cela permet de prévenir les lésions au cerveau et aux autres organes.

Quels sont les bénéfices de Loargys démontrés au cours des études?

Loargys a été comparé à un placebo (un traitement fictif) dans le cadre d'une étude menée auprès de 32 adultes et enfants atteints d'hyperargininémie. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la modification du taux sanguin d'arginine après 24 semaines de traitement. L'étude a montré que les taux d'arginine ont diminué de 77 % chez les patients traités par Loargys, tandis qu'aucune réduction des taux d'arginine n'a été observée chez les patients sous placebo.

Bien que l'étude ait également suggéré que Loargys puisse améliorer la fonction motrice par rapport au placebo, la différence n'était pas statistiquement significative (c'est-à-dire qu'elle pouvait être due au hasard). Toutefois, les données préliminaires à plus long terme, recueillies au-delà de la période de traitement de 24 semaines, indiquent que la fonction motrice (marche et position debout) peut se stabiliser ou s'améliorer progressivement avec l'utilisation à long terme du médicament.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Loargys?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Loargys, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Loargys (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les réactions allergiques.

Pourquoi Loargys est-il autorisé dans l'UE?

Il a été démontré que Loargys réduit les taux d'arginine chez les patients atteints d'hyperargininémie. Les données indiquent également que le traitement à long terme par Loargys améliore ou stabilise progressivement les fonctions motrices des patients. Bien que les données de sécurité disponibles soient limitées, les effets indésirables sont généralement considérés comme gérables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Loargys sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Loargys. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Loargys en raison de la rareté de la maladie. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Loargys, au moment de l'autorisation, la société qui commercialise Loargys était tenue de fournir des mises à jour annuelles concernant le recueil de données provenant de deux études de registres portant sur l'efficacité et la sécurité à long terme de la pegzilarginase chez les patients atteints

d'hyperargininémie. La société fournira également les résultats finaux des deux études sur la sécurité à long terme, la tolérabilité et l'efficacité de la pegzilarginase chez les adultes, les adolescents et les enfants atteints d'hyperargininémie. Elle signalera également chaque année toute nouvelle information sur l'efficacité et la sécurité du médicament dans la population cible.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Loargys?

La société qui commercialise Loargys fournira aux patients et aux soignants un support éducatif sur la manipulation et l'injection du médicament, afin de les informer des risques de réactions allergiques graves et de la nécessité de contacter leur médecin en cas de symptômes.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Loargys ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Loargys sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Loargys sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Loargys:

De plus amples informations sur Loargys sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.