



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilarginaza*)

Pregled informacija o lijeku Loargys i zašto je odobren u EU-u

Što je Loargys i za što se koristi?

Loargys je lijek koji se koristi za liječenje osoba u dobi od dvije godine i starijih s hiperargininemijom.

Bolesnici s hiperargininemijom ne mogu razgraditi aminokiselinu arginin jer im nedostaje jetreni enzim arginaza 1. Kao rezultat toga, arginin se nakuplja u tijelu. To može prouzročiti probleme sa živčanim sustavom, uključujući napadaje i ukočenost nogu.

Hiperargininemija je rijetka bolest, a lijek Loargys dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 14. srpnja 2016. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na mrežnom mjestu EMA-e: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys sadrži djelatnu tvar pegzilarginazu.

Kako se Loargys primjenjuje?

Lijek se izdaje samo na recept, a liječenje treba započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika s nasljednim metaboličkim bolestima. Prve doze potrebno je dati na lokaciji na kojoj je na raspolaganju odgovarajuća medicinska skrb za zbrinjavanje alergijskih reakcija.

Loargys se daje jednom tjedno infuzijom (ukapavanjem) u venu ili injekcijom pod kožu. Doza ovisi o tjelesnoj težini bolesnika, a može se prilagoditi na temelju razine arginina u krvi bolesnika. Potrebne su redovite krvne pretrage kako bi se pratila razina arginina i, prema potrebi, prilagodila doza.

Bolesnici ili njihovi negovatelji mogu sami davati lijek Loargys nakon odgovarajuće obuke. Prije početka primjene lijeka Loargys injekcijom bolesnici moraju biti na intravenskoj terapiji barem osam tjedana i primati stabilnu dozu održavanja. Osim toga, njihov rizik od alergijskih reakcija na lijek Loargys mora biti procijenjen niskim.

Lijek Loargys treba primjenjivati zajedno s drugim mjerama za suzbijanje bolesti, uključujući prehranu s niskim udjelom bjelancevina, dodatke aminokiselina i sve druge lijekove potrebne za kontrolu bolesti.

Za više informacija o primjeni lijeka Loargys pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.



Kako djeluje Loargys?

Djelatna tvar u lijeku Loargys, pegzilarginaza, djeluje na sličan način kao i arginaza 1, enzim koji nedostaje osobama s hiperargininemijom. Pegzilarginaza razgrađuje višak arginina iz krvi, čime se sprječava oštećenje mozga i drugih organa.

Koje su koristi od lijeka Loargys utvrđene u ispitivanjima?

Loargys je uspoređen s placebom (prividnim liječenjem) u ispitivanju koje je obuhvatilo 32 osobe, odrasle i djecu, s hiperargininemijom. Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena razine arginina u krvi nakon 24 tjedna liječenja. Ispitivanje je pokazalo da je razina arginina pala za 77 % u bolesnika koji su primali lijek Loargys, dok u bolesnika koji su primali placebo nije zabilježen pad razine arginina.

Iako je ispitivanje također ukazalo na to da se primjenom lijeka Loargys može poboljšati motorička funkcija, u usporedbi s placebom razlika nije bila statistički značajna (tj. mogla je biti slučajna). Međutim, preliminarni dugoročniji podatci prikupljeni nakon 24-tjednog liječenja upućivali su na to da se motorička funkcija (hodanje i stajanje) može stabilizirati ili postupno poboljšati dugotrajnom primjenom lijeka.

Koji su rizici povezani s lijekom Loargys?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Loargys potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Loargys su alergijske reakcije (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba).

Zašto je lijek Loargys odobren u EU-u?

Pokazalo se da se primjenom lijeka Loargys smanjuje razina arginina u bolesnika s hiperargininemijom. Podatci također upućuju na to da se dugotrajnom primjenom lijeka Loargys postupno poboljšavaju ili stabiliziraju motoričke sposobnosti bolesnika. Iako su podatci o sigurnosti primjene ograničeni, općenito se smatra da se nuspojave mogu kontrolirati. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Loargys nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Loargys odobren je u „iznimnim okolnostima“. Razlog tome je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Loargys zbog male učestalosti bolesti. Svake će godine Europska agencija za lijekove procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne te će se ovaj pregled informacija po potrebi ažurirati.

Budući da je lijek Loargys odobren u iznimnim okolnostima, u trenutku izdavanja odobrenja od tvrtke koja lijek Loargys stavlja u promet zatraženo je da dostavlja godišnje ažurirane skupine podataka o dugoročnoj učinkovitosti i sigurnosti pegzilarginaze u bolesnika s hiperargininemijom, prikupljene iz dvaju ispitivanja na temelju podataka iz registra. Tvrtka će također dostaviti konačne rezultate dvaju ispitivanja o dugoročnoj sigurnosti, podnošljivosti i učinkovitosti pegzilarginaze u odraslih osoba, adolescenata i djece s hiperargininemijom. Uz to, svake će godine dostavljati ažuriranja svih novih informacija o učinkovitosti i sigurnosti lijeka u ciljnoj populaciji.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Loargys?

Tvrtka koja lijek Loargys stavlja u promet dostavit će bolesnicima i njegovateljima materijale za obuku o rukovanju lijekom i ubrizgavanju lijeka, u kojima će ih upoznati s rizicima od teških alergijskih reakcija i potrebom da se obrate svojem liječniku ako se pojave simptomi.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Loargys također se nalaze u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Loargys kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Loargys pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Loargys

Više informacija o lijeku Loargys dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.