



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Loargys (pegzilargináz)

A Loargys-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer a Loargys és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Loargys hiperargininémiában szenvedő, 2 évesnél idősebb személyek kezelésére alkalmazott gyógyszer.

A hiperargininémiában szenvedő betegek szervezete nem képes lebontani az arginin nevű aminosavat, mivel náluk hiányzik az argináz 1 nevű májenzim. Ennek eredményeként az arginin felhalmozódik a szervezetben. Ez idegrendszeri problémákat okozhat, köztük rohamokat és a lábak merevségét.

Mivel a hiperargininémia „ritkának” minősül, ezért a Loargys-t 2016. július 14-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA honlapján található:

[ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701](https://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701).

A Loargys hatóanyaga a pegzilargináz.

### **Hogyan kell alkalmazni a Loargys-t?**

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést az örökölt anyagcsere-betegségek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie. Az első adagokat olyan helyszínen kell beadni, ahol megfelelő orvosi támogatás áll rendelkezésre az allergiás reakciók kezeléséhez.

A Loargys-t hetente egyszer, vénás infúzióként vagy bőr alá adott injekcióként kell alkalmazni. Az adag a beteg testtömegétől függ, és a beteg vérében mért argininszint alapján módosítható. Rendszeres vérvizsgálatok szükségesek az arginin szintjének figyelemmel kíséréséhez és az adag szükség szerinti módosításához.

A betegek vagy gondozóik megfelelő betanítást követően maguk is beadhatják a Loargys-injekciót. A betegek csak akkor kaphatnak injekció formájában Loargys-t, ha már legalább 8 hétig tartó kezelésben részesültek, és stabil fenntartó adagot kapnak. Ezenkívül a Loargys-szel szembeni allergiás reakciók kockázatának alacsonynak kell lennie.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



A Loargys-t más intézkedésekkel együtt kell alkalmazni a betegség kezelésére, beleértve az alacsony fehérjetartalmú étrendet, az aminosav-kiegészítőket és a betegség kezeléséhez szükséges egyéb gyógyszereket.

A Loargys alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

## **Hogyan fejt ki hatását a Loargys?**

A Loargys hatóanyaga, a pegzilargináz hasonló módon fejt ki hatását, mint az argináz 1, amely enzim a hiperargininémiában szenvedő betegeknél hiányzik. A pegzilargináz lebontja a felesleges arginint a vérből. Ezzel megakadályozza az agy és más szervek károsodását.

## **Milyen előnyei voltak a Loargys alkalmazásának a vizsgálatok során?**

A Loargys-t egy 32, hiperargininémiában szenvedő felnőtt és gyermek részvételével végzett vizsgálatban placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze. A hatásosság fő mutatója az arginin vérben mért szintjének a változása volt 24 heti kezelést követően. A vizsgálat kimutatta, hogy a Loargys-szel kezelt betegeknél az argininszint 77%-kal csökkent, míg a placebót kapott betegeknél az argininszint nem csökkent.

Bár a vizsgálat eredményei arra is utaltak, hogy a Loargys a placebóhoz képest javíthatja a motoros funkciókat, a különbség nem volt statisztikailag szignifikáns (azaz lehetett a véletlennek köszönhető is). A 24 hetes kezelési időszakot követően gyűjtött, hosszabb távú előzetes adatok azonban azt mutatták, hogy a motoros funkció (járás és állás) a gyógyszer hosszú távú alkalmazása mellett stabilizálódhat vagy fokozatosan javulhat.

## **Milyen kockázatokkal jár a Loargys alkalmazása?**

A Loargys alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Loargys leggyakoribb mellékhatásai közé tartoznak az allergiás reakciók (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhetnek).

## **Miért engedélyezték a Loargys forgalomba hozatalát az EU-ban?**

Kimutatták, hogy a Loargys csökkenti az arginin szintjét a hiperargininémiában szenvedő betegeknél. Az adatok arra is utaltak, hogy a hosszú távú Loargys-kezelés fokozatosan javítja vagy stabilizálja a betegek motoros készségeit. Bár a biztonságossági adatok korlátozottak, a mellékhatásokat általában kezelhetőnek tartják. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Loargys alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Loargys forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Loargys-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Mivel a Loargys-t kivételes körülmények között engedélyezték, az engedélyezés időpontjában a Loargys-t forgalmazó vállalatot arra kötelezték, hogy évente bocsássa rendelkezésre a hiperargininémiában szenvedő betegeknél a pegzilargináz hosszú távú hatásosságára és biztonságosságára vonatkozó két, nyilvántartáson alapuló vizsgálatból származó adatok frissítését. A vállalat továbbá két, hiperargininémiában szenvedő felnőttknél, serdülőknél és gyermekeknél a

pegzilargináz hosszú távú biztonságosságára, tolerálhatóságára és hatékonyságára vonatkozó vizsgálat végleges eredményeit is be fogja nyújtani. Emellett évente aktualizált tájékoztatást nyújtanak a gyógyszer hatásosságára és biztonságosságára vonatkozó minden új információról a célpopulációban.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Loargys biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Loargys-t forgalmazó vállalat oktatóanyagot fog biztosítani a betegek és a gondozók számára a gyógyszer kezelésének és beadásának módjáról, hogy tájékoztassa őket a súlyos allergiás reakciók kockázatairól és arról, hogy a tünetek jelentkezése esetén orvoshoz kell fordulniuk.

A Loargys biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a beteg tájékoztatóban.

A Loargys alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Loargys alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **A Loargys-szel kapcsolatos egyéb információ**

A Loargys-szel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys).