



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilarginasi*)

Sintesi di Loargys e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Loargys e per cosa si usa?

Loargys è un medicinale usato per il trattamento di persone a partire dai 2 anni di età affette da iperargininemia.

I pazienti con iperargininemia non sono in grado di degradare l'amminoacido arginina per un deficit dell'enzima epatico arginasi 1. Di conseguenza, l'arginina si accumula nell'organismo e può causare problemi al sistema nervoso, tra cui convulsioni e rigidità delle gambe.

L'iperargininemia è rara e Loargys è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 14 luglio 2016. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'EMA: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys contiene il principio attivo pegzilarginasi.

Come si usa Loargys?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere avviato e supervisionato da un medico esperto nella gestione di pazienti affetti da malattie metaboliche ereditarie. Le prime dosi devono essere somministrate in un luogo che si avvalga di un adeguato supporto medico per la gestione delle reazioni allergiche.

Loargys è somministrato una volta alla settimana, per infusione (flebo) in vena o per iniezione sottocutanea (sotto la pelle). La dose dipende dal peso del paziente e può essere adattata in base alle concentrazioni plasmatiche di arginina del paziente. Sono necessari esami del sangue periodici per monitorare l'arginina e, se necessario, aggiustare la dose.

Dopo istruzioni opportune la somministrazione di Loargys può essere effettuata dai pazienti stessi o da chi li assiste. Prima di poter iniettare Loargys, i pazienti devono aver ricevuto il trattamento per almeno 8 settimane ed essere sottoposti a una dose di mantenimento stabile. Inoltre il loro rischio di reazioni allergiche a Loargys deve essere valutato come basso.

Loargys deve essere usato in associazione ad altre misure di gestione della malattia, tra cui una dieta a basso contenuto proteico, integratori di amminoacidi e qualsiasi altro medicinale necessario per gestire la malattia.

Official address Domenico Scarlatillaan 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



Per maggiori informazioni sull'uso di Loargys, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Loargys?

Il principio attivo di Loargys, pegzilarginasi, agisce in modo analogo all'arginasi 1, l'enzima mancante nelle persone affette da iperargininemia. Pegzilarginasi elimina l'eccesso di arginina dal sangue, evitando in tal modo danni al cervello e ad altri organi.

Quali benefici di Loargys sono stati evidenziati negli studi?

Loargys è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio) in uno studio condotto su 32 adulti e bambini e adolescenti affetti da iperargininemia. La principale misura dell'efficacia è stata la variazione dei livelli di arginina nel sangue dopo 24 settimane di trattamento. Lo studio ha mostrato che i livelli di arginina sono stati ridotti del 77 % nei pazienti trattati con Loargys, mentre non vi è stata alcuna riduzione dei livelli di arginina nei pazienti trattati con placebo.

Sebbene lo studio suggerisse anche che Loargys potrebbe migliorare la funzione motoria rispetto al placebo, la differenza non era statisticamente significativa (ossia potrebbe essere dovuta al caso). Tuttavia i dati preliminari a più lungo termine raccolti oltre il periodo di trattamento di 24 settimane hanno indicato che la funzione motoria (camminare e stare in piedi) può stabilizzarsi o migliorare gradualmente con un utilizzo a lungo termine del medicinale.

Quali sono i rischi associati a Loargys?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Loargys, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Loargys (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono reazioni allergiche.

Perché Loargys è autorizzato nell'UE?

È stato dimostrato che Loargys riduce i livelli di arginina nei pazienti affetti da iperargininemia. I dati hanno inoltre indicato che il trattamento a lungo termine con Loargys migliora o stabilizza gradualmente le capacità motorie dei pazienti. Sebbene i dati sulla sicurezza siano limitati, gli effetti indesiderati sono generalmente considerati gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Loargys sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Loargys è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Loargys a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Poiché Loargys è stato autorizzato in circostanze eccezionali, al momento dell'autorizzazione la ditta che commercializza Loargys era tenuta a fornire aggiornamenti annuali sulla raccolta di dati provenienti da due studi basati su registri relativi all'efficacia e alla sicurezza a lungo termine di pegzilarginasi nei pazienti con iperargininemia. La ditta fornirà inoltre i risultati finali di due studi sulla sicurezza, sulla tollerabilità e sull'efficacia a lungo termine di pegzilarginasi condotti in adulti, adolescenti e bambini affetti da iperargininemia. Essa fornirà altresì un aggiornamento annuale su eventuali nuove informazioni sull'efficacia e sulla sicurezza del medicinale nella popolazione presa in considerazione.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Loargys?

La ditta che commercializza Loargys fornirà ai pazienti e alle persone che li assistono materiale informativo su come manipolare e iniettare il medicinale, per informarli dei rischi di gravi reazioni allergiche e della necessità di contattare il medico in caso di comparsa di sintomi.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Loargys sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Loargys sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Loargys sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Loargys

Ulteriori informazioni su Loargys sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.