



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilarginazė*)

Loargys apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Loargys ir kam jis vartojamas?

Loargys – tai vaistas žmonėms nuo 2 metų, sergantiems hiperargininemija, gydyti.

Hiperargininemija sergančių pacientų organizmas negali skaidyti aminorūgšties arginino, nes jų organizme trūksta kepenų fermento arginazės 1. Dėl to argininas organizme kaupiasi ir gali pasireikšti nervų sistemos sutrikimai, įskaitant kojų traukulius ir stingulį.

Hiperargininemija laikoma reta liga, todėl 2016 m. liepos 14 d. Loargys buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA interneto svetainėje: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys sudėtyje yra veikliosios medžiagos pegzilarginazės.

Kaip vartoti Loargys?

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydyimą turi pradėti ir prižiūrėti paveldimomis medžiagų apykaitos ligomis sergančių pacientų gydymo patirties turintis gydytojas. Pirmąsias dozes reikia sušvirkšti (lašinti) tokioje vietoje, kur galima suteikti būtiną medicininę pagalbą, jei reikėtų suvaldyti alergines reakcijas.

Loargys infuzija lašinama į veną arba švirkščinama po oda kartą per savaitę. Vaisto dozė nustatoma pagal paciento svorį; ją galima koreguoti atsižvelgiant į arginino koncentraciją paciento kraujyje. Arginino koncentracijai stebėti reikia reguliariai atlikti kraujo tyrimus ir, prireikus, dozę koreguoti.

Išmokyti pacientai arba juos slaugantys asmenys Loargys gali susišvirkšti (sušvirkšti) patys. Pacientai gali pradėti Loargys švirkštis patys praėjus ne mažiau kaip 8 gydymo savaitėms, nustačius stabilią palaikomąją dozę. Be to, reikia įsitikinti, kad padidėjusio jautrumo reakcijų rizika yra nedidelė.

Loargys turi būti vartojamas kartu taikant kitas ligos gydymo priemones, įskaitant sumažinto baltymų kiekio dietą, papildus su aminorūgštimis ir visus kitus vaistus ligos simptomams kontroliuoti.

Daugiau informacijos apie Loargys vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

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



Kaip veikia Loargys?

Loargys veikioji medžiaga pegzilarginazė veikia panašiai kaip arginazė 1, fermentas, kurio trūksta hiperargininemija sergančių pacientų organizme. Pegzilarginazė skaido perteklinį argininą kraujyje. Tai padeda išvengti smegenų ir kitų organų pažeidimo.

Kokia Loargys nauda nustatyta tyrimų metu?

Loargys buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos) atliekant tyrimą, kuriame dalyvavo 32 hiperargininemija sergantys suaugusieji ir vaikai. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo arginino koncentracijos kraujyje pokytis po 24 gydymo savaičių. Atliekant tyrimą paaiškėjo, kad arginino koncentracija Loargys gydytų pacientų kraujyje sumažėjo 77 proc., o placebo vartojusių pacientų kraujyje – nesumažėjo.

Nors tyrimas taip pat atskleidė, kad, palyginti su placebo, Loargys gali pagerinti motorinę funkciją, skirtumas nebuvo statistiškai reikšmingas (t. y. jis gali būti atsitiktinis). Vis dėlto, remiantis preliminariais ilgesnio laikotarpio duomenimis, surinktais per 24 savaičių trukmės gydymo laikotarpį, vaistą vartojant ilgą laiką motorinė funkcija (vaikščiojimas ir stovėjimas) gali stabilizuotis arba palaipsniui gerėti.

Kokia rizika susijusi su Loargys vartojimu?

Išsamų visų Loargys šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Loargys šalutinis poveikis yra alerginės reakcijos (galinčios pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10).

Kodėl Loargys buvo registruotas ES?

Nustatyta, kad arginino koncentracija Loargys vartojančių hiperargininemija sergančių pacientų kraujyje mažėja. Duomenys taip pat patvirtino, kad gydant Loargys ilgą laiką, pacientų motorinė funkcija palaipsniui gerėja arba stabilizuojasi. Nors vaisto saugumo duomenų nėra daug, manoma, kad šalutinį poveikį galima kontroliuoti. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Loargys nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Loargys registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Loargys. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią apžvalgą.

Kadangi Loargys registruotas išimtinėmis sąlygomis, registravimo metu buvo reikalaujama, kad Loargys prekiaujanti bendrovė pateiktų kasmet atnaujinamą informaciją apie dviejų registro duomenimis grindžiamų tyrimų duomenis, susijusius su pegzilarginazės ilgalaikiu veiksmingumu ir saugumu hiperargininemija sergantiems pacientams. Bendrovė taip pat pateiks galutinius dviejų tyrimų, kuriuose vertintas pegzilarginazės ilgalaikis saugumas, toleravimas ir veiksmingumas hiperargininemija sergantiems suaugusiesiems, paaugliams ir vaikams, rezultatus. Ji taip pat kasmet pateiks naujausią informaciją apie vaisto veiksmingumą ir saugumą numatomi populiacijai.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Loargys vartojimą?

Loargys prekiaujanti bendrovė pacientams arba juos prižiūrintiems asmenims pateiks mokomąją medžiagą apie tai, kaip elgtis su vaistu ir jį su(si)švirkšti, informuodama juos apie sunkių alerginių reakcijų riziką ir apie būtinybę kreiptis į gydytoją, jei pasireikštų simptomai.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Loargys vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Loargys vartojimo duomenys nuolatos stebimi. Įtariamas Loargys šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Loargys

Daugiau informacijos apie Loargys rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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