



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilargināzes*)

Loargys pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Loargys* un kāpēc tās lieto?

Loargys ir zāles, ko lieto, lai ārstētu cilvēkus no divu gadu vecuma ar hiperargininēmiju.

Pacienti ar hiperargininēmiju nespēj noārdīt aminoskābi arginīnu, jo viņiem trūkst aknu enzīma argināzes 1. Tā rezultātā organismā uzkrājas arginīns. Tas var izraisīt nervu sistēmas traucējumus, tostarp krampjus un kāju stīvumu.

Hiperargininēmija ir reta slimība, un 2016. gada 14. jūlijā *Loargys* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys satur aktīvo vielu pegzilargināzi.

Kā lieto *Loargys*?

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi, ārstējot pacientus ar iedzimtām metaboliskām slimībām. Pirmās devas jāievada vietā, kur ir atbilstošs medicīniskais atbalsts alerģisku reakciju kontrolei.

Loargys ievada reizi nedēļā kā infūziju (pa pilienam) vēnā vai kā zemādas injekciju. Deva ir atkarīga no pacienta svara; to var pielāgot, pamatojoties uz arginīna līmeni pacienta asinīs. Lai kontrolētu arginīnu un nepieciešamības gadījumā pielāgotu devu, ir jāveic regulāras asins analīzes.

Pēc attiecīgas apmācības pacienti vai viņu aprūpētāji var paši injicēt *Loargys*. Pirms pacienti var injicēt *Loargys*, viņiem jābūt saņēmušiem ārstēšanu vismaz astoņas nedēļas un lieto stabilu uzturošo devu. Turklāt šo zāļu alerģisko reakciju risks uz *Loargys* ir jāvērtē kā zems.

Loargys ir jālieto kopā ar citiem slimības kontroles pasākumiem, tostarp ar mazproteīnu diētu, aminoskābju uztura bagātinātājiem un jebkurām citām zālēm, kas nepieciešamas slimības kontrolei.

Papildu informāciju par *Loargys* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.



Kā *Loargys* darbojas?

Loargys aktīvā viela pegzilargināze darbojas līdzīgi kā argināze 1, t. i., enzīms, kura trūkst cilvēkiem ar hiperargininēmiju. Pegzilargināze no asinīm sašķeļ lieko arginīnu. Tas novērš smadzeņu un citu orgānu bojājumus.

Kādi *Loargys* ieguvumi atklāti pētījumos?

Loargys salīdzināja ar placebo (fiktīvu ārstēšanu) pētījumā, iesaistot 32 pieaugušos un bērnus ar hiperargininēmiju. Galvenais efektivitātes rādītājs bija arginīna līmeņa izmaiņas asinīs pēc 24 ārstēšanas nedēļām. Pētījumā pierādīja, ka arginīna līmenis pacientiem, kurus ārstēja ar *Loargys*, tika samazināts par 77 %, savukārt pacientiem, kuri saņēma placebo, arginīna līmenis nepazeminājās.

Lai gan pētījums arī liecināja, ka *Loargys* var uzlabot motorisko funkciju salīdzinājumā ar placebo, atšķirība nebija statistiski nozīmīga (t. i., tā var būt gadījuma rakstura dēļ). Tomēr provizorisks ilgāka termiņa dati, kas savākti pēc 24 nedēļu ārstēšanas perioda, liecina, ka motoriskā funkcija (staigāšana un stāvēšana) ar zāļu ilgtermiņa lietošanu var stabilizēties vai pakāpeniski uzlaboties.

Kāds risks pastāv, lietojot *Loargys*?

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Loargys*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Loargys* blakusparādības ietver alerģiskas reakcijas (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem).

Kāpēc *Loargys* ir reģistrētas ES?

Tika pierādīts, ka *Loargys* samazina arginīna līmeni pacientiem ar hiperargininēmiju. Dati arī liecināja, ka ilgstoša ārstēšana ar *Loargys* pakāpeniski uzlabo vai stabilizē pacientu motoriskās prasmes. Lai gan drošuma dati ir ierobežoti, blakusparādības parasti tiek uzskatītas par kontrolējamām. Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Loargys*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Loargys ir reģistrētas "izņēmuma apstākļos". Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Loargys*. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Tā kā *Loargys* tika reģistrētas ārkārtas apstākļos, atļaujas piešķiršanas brīdī uzņēmumam, kas tirgoja *Loargys*, katru gadu bija jāsniedz jaunākā informācija par datu vākšanu no diviem reģistrā balstītiem pētījumiem par pegzilargināzes ilgtermiņa efektivitāti un drošumu pacientiem ar hiperargininēmiju. Uzņēmums iesniegs arī divu pētījumu galīgos rezultātus par pegzilargināzes ilgtermiņa drošumu, panesamību un efektivitāti pieaugušajiem, pusaudžiem un bērniem ar hiperargininēmiju. Tie arī sniegs ikgadēju jaunāko informāciju par jebkādu jaunu informāciju par zāļu efektivitāti un drošumu paredzētajā populācijā.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Loargys* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Loargys*, pacientiem un aprūpētājiem nodrošinās izglītojošu materiālu par zāļu lietošanu un injicēšanu, lai informētu viņus par smagu alerģisku reakciju risku un nepieciešamību sazināties ar ārstu, ja parādās simptomi.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Loargys* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Loargys* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Loargys* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Loargys*

Sīkāka informācija par *Loargys* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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