



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilarginase*)

Ħarsa ġenerali lejn Loargys u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Loargys u għal xiex jintuża?

Loargys huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' persuni minn sentejn 'il fuq b'hyperargininaemia.

Il-pazjenti b'hyperargininaemia mhumex kapaċi jkissru l-amminoacidu arginina minhabba li m'għandhomx l-enzima ta' arginase 1 tal-fwied. B'riżultat ta' dan, l-arginina takkumula fil-ġisem. Dan jista' jikkawża problemi bis-sistema nervuża, inklużi attakk epilettiku u ebusija fir-riġlejn.

L-hyperargininaemia hija rari, u Loargys ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fl-14 ta' Lulju 2016. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab fuq is-sit web tal-EMA: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys fih is-sustanza attiva pegzilarginase.

Kif jintuża Loargys?

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jinbeda u jiġi sorveljat minn tabib b'esperjenza fit-trattament ta' pazjenti b'mard metaboliku ereditarju. L-ewwel dożi għandhom jingħataw f'post b'appoġġ mediku xieraq għall-ġestjoni ta' reazzjonijiet allergiċi.

Loargys jingħata darba fil-ġimgħa, bħala infużjoni (dripp) fil-vina jew bħala injezzjoni taħt il-ġilda. Id-doża tiddependi mill-piż tal-pazjent; tista' tiġi aġġustata abbażi tal-livelli ta' arginina fid-demm tal-pazjent. Testijiet tad-demm regolari huma meħtieġa biex tiġi mmonitorjata l-arginina u jekk ikun meħtieġ tiġi aġġustata d-doża.

Wara taħriġ xieraq, il-pazjenti jew dawk li jieħdu ħsiebhom jistgħu jinjettaw Loargys huma stess. Qabel ma l-pazjenti jkunu jistgħu jinjettaw Loargys, għandhom ikunu rċewew trattament għal mill-inqas 8 ġimgħat u jkunu fuq doża ta' manteniment stabbli. Barra minn hekk, ir-riskju tagħhom ta' reazzjonijiet allergiċi għal-Loargys għandu jiġi vvalutat bħala baxx.

Loargys għandu jintuża flimkien ma' miżuri oħra għall-ġestjoni tal-marda, inklużi dieta b'livell baxx ta' proteini, supplimenti tal-acidu amminiku u kwalunkwe mediċina oħra meħtieġa għall-ġestjoni tal-marda.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Loargys, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.



Kif jaħdem Loargys?

Is-sustanza attiva f'Loargys, il-pegzilarginase, taħdem b'mod simili għal arginase 1, l-enzima li hija nieqsa f'persuni b'hyperargininaemia. Il-pegzilarginase tkisser l-eċċess ta' arginina mid-demem. Dan jipprevjeni ħsara fil-moħħ u f'organi oħra.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Loargys li ħarġu mill-istudji?

Loargys tqabbel ma' placebo (trattament fint) fi studju li kien jinvolvi 32 adult u tifel u tifla b'hyperargininaemia. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fil-livell ta' arginina fid-demem wara 24 ġimgħa ta' trattament. L-istudju wera li l-livelli ta' arginina tnaqqsu b' 77 % f'pazjenti ttrattati b'Loargys, filwaqt li ma kien hemm l-ebda tnaqqis fil-livelli ta' arginina f'pazjenti li ngħataw placebo.

Għalkemm l-istudju ssuġġerixxa wkoll li Loargys jista' jtejjeb il-funzjoni motorja meta mqabbel ma' placebo, id-differenza ma kinitx statistikament sinifikanti (jiġifieri tista' tkun riżultat ta' kumbinazzjoni). Madankollu, *data* preliminari aktar fit-tul miġbura lil hinn mill-perjodu ta' trattament ta' 24 ġimgħa indikat li l-funzjoni motorja (mixi u bilwieqfa) tista' tistabbilizza jew titjieb gradwalment bl-użu fit-tul tal-medicina.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Loargys?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Loargys, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Loargys jinkludu reazzjonijiet allergiċi (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10).

Għaliex Loargys ġie awtorizzat fl-UE?

Loargys intwera li jnaqqas il-livelli ta' arginina f'pazjenti b'hyperargininaemia. Id-*data* indikat ukoll li trattament fit-tul b'Loargys gradwalment ittejjeb jew tistabbilizza l-ħiliet motorji tal-pazjenti.

Għalkemm id-*data* dwar is-sigurtà hija limitata, l-effetti sekondarji huma ġeneralment ikkunsidrati bħala maniġġabbli. Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Loargys huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Loargys ġie awtorizzat taħt "ċirkostanzi ta' eċċezzjoni". Dan minħabba li ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni kompleta dwar Loargys minħabba r-rarità tal-marda. Kull sena, l-Aġenzija se tirrieżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u din il-ħarsa ġenerali tiġi aġġornata kif meħtieġ.

Peress li Loargys ġie awtorizzat taħt ċirkostanzi eċċezzjonali, fiż-żmien tal-awtorizzazzjoni l-kumpanija li tqiegħed Loargys fis-suq kienet meħtieġa tipprovdi aġġornamenti annwali dwar il-ġbir ta' *data* minn żewġ studji bbażati fuq ir-registrazzjoni dwar l-effikaċja u s-sigurtà fit-tul tal-pegzilarginase f'pazjenti b'hyperargininaemia. Il-kumpanija se tipprovdi wkoll ir-riżultati finali minn żewġ studji dwar is-sigurtà, it-tollerabbiltà u l-effikaċja fit-tul tal-pegzilarginase fl-adulti, fl-adolesxenti u fit-tfal b'hyperargininaemia. Se jipprovdu wkoll aġġornament annwali dwar kwalunkwe informazzjoni ġdida dwar l-effikaċja u s-sigurtà tal-medicina fil-popolazzjoni maħsuba.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Loargys?

Il-kumpanija li tqiegħed Loargys fis-suq se tipprovdi lill-pazjenti u lil dawk li jieħdu ħsiebhom b'materjal edukattiv dwar kif jimmaniġġjaw u jinnettaw il-medicina, biex tinformahom dwar ir-riskji ta' reazzjonijiet allergiċi severi u l-ħtieġa li jikkuntattjaw lit-tabib tagħhom jekk jesperjenzaw sintomi.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Loargys.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu tal-Loargys hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Loargys huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tippoteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Loargys

Aktar informazzjoni dwar Loargys tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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