



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilarginase*)

Een overzicht van Loargys en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Loargys en wanneer wordt het voorgeschreven?

Loargys is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van personen vanaf 2 jaar met hyperargininemie.

Patiënten met hyperargininemie kunnen het aminozuur arginine niet afbreken omdat zij niet beschikken over het leverenzym arginase 1. Als gevolg daarvan hoopt arginine zich op in het lichaam. Dit kan problemen met het zenuwstelsel veroorzaken, zoals epileptische aanvallen en stijfheid in de benen.

Hyperargininemie is zeldzaam, en Loargys werd op 14 juli 2016 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys bevat de werkzame stof pegzilarginase.

Hoe wordt Loargys gebruikt?

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met erfelijke stofwisselingsziekten. De eerste doses moeten worden toegediend op een locatie met passende medische ondersteuning voor de behandeling van allergische reacties.

Loargys wordt eenmaal per week toegediend via infusie (indruppeling) in een ader of via injectie onder de huid. De dosis is afhankelijk van het gewicht van de patiënt en kan worden aangepast op basis van het argininegehalte in het bloed van de patiënt. Regelmatig bloedonderzoek is nodig om het argininegehalte te controleren en zo nodig de dosis aan te passen.

Patiënten of hun verzorgers kunnen na de nodige training Loargys zelf injecteren. Voordat patiënten Loargys zelf mogen injecteren, moeten zij ten minste 8 weken zijn behandeld en een stabiele onderhoudsdosis krijgen. Bovendien moet het risico dat zij lopen op allergische reacties op Loargys als laag worden beoordeeld.



Loargys moet worden gebruikt in combinatie met andere maatregelen om de ziekte onder controle te houden, waaronder een eiwitarm dieet, aminozuursupplementen en andere geneesmiddelen die nodig zijn om de ziekte onder controle te houden.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Loargys.

Hoe werkt Loargys?

De werkzame stof in Loargys, pegzilarginase, werkt op vergelijkbare wijze als arginase 1, het enzym dat ontbreekt bij mensen met hyperargininemie. Pegzilarginase breekt overmatige hoeveelheden arginine in het bloed af. Hierdoor worden schade aan de hersenen en andere organen voorkomen.

Welke voordelen bleek Loargys tijdens de studies te hebben?

Loargys werd vergeleken met placebo (een schijnbehandeling) in een studie onder 32 volwassenen en kinderen met hyperargininemie. De belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering in het argininegehalte in het bloed na 24 weken behandeling. Uit de studie bleek dat de argininespiegel met 77 % daalde bij patiënten die met Loargys werden behandeld, terwijl er bij patiënten die placebo kregen geen daling van de argininespiegel optrad.

Hoewel uit de studie ook bleek dat Loargys de motorische functies kan verbeteren ten opzichte van placebo, was het verschil niet statistisch significant (d.w.z. het kan op toeval berusten). Voorlopige gegevens over de langere termijn die na de behandelperiode van 24 weken werden verzameld, wezen er echter op dat de motorische functies (lopen en staan) bij langdurig gebruik van het geneesmiddel mogelijk stabiliseren of geleidelijk verbeteren.

Welke risico's houdt het gebruik van Loargys in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Loargys.

De meest voorkomende bijwerkingen van Loargys zijn allergische reacties (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden).

Waarom is Loargys geregistreerd in de EU?

Loargys bleek het argininegehalte bij patiënten met hyperargininemie te verlagen. De gegevens wezen er ook op dat langdurige behandeling met Loargys de motoriek van patiënten geleidelijk verbetert of stabiliseert. Hoewel de veiligheidsgegevens beperkt zijn, worden de bijwerkingen over het algemeen beheersbaar geacht. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Loargys groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Loargys is goedgekeurd 'onder uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Loargys te verkrijgen. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuwe beschikbare informatie beoordelen en dit overzicht zo nodig laten bijwerken.

Aangezien aan Loargys goedkeuring onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, werd het bedrijf dat Loargys in de handel brengt, er op het moment van goedkeuring toe verplicht om jaarlijkse updates te verstrekken over de verzameling van gegevens uit twee op registergegevens gebaseerde onderzoeken naar de werkzaamheid en veiligheid van pegzilarginase op lange termijn bij patiënten met

hyperargininemie. Het bedrijf zal ook de eindresultaten verstrekken van twee studies over de veiligheid, verdraagbaarheid en werkzaamheid van pegzilarginase op lange termijn bij volwassenen, adolescenten en kinderen met hyperargininemie. Het zal ook jaarlijks een update verstrekken van alle nieuwe informatie over de werkzaamheid en veiligheid van het geneesmiddel bij de beoogde populatie.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Loargys te waarborgen?

Het bedrijf dat Loargys in de handel brengt, zal patiënten en verzorgers voorzien van voorlichtingsmateriaal over het hanteren en injecteren van het geneesmiddel, om hen te informeren over de risico's van ernstige allergische reacties en de noodzaak om contact op te nemen met hun arts als zij symptomen ondervinden.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Loargys, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Loargys continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Loargys worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Loargys

Meer informatie over Loargys is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.