



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzylarginaza*)

Przegląd wiedzy na temat leku Loargys i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Loargys i w jakim celu się go stosuje

Loargys jest lekiem stosowanym w leczeniu osób w wieku od 2 lat i starszych z hiperargininemią.

Organizm pacjenta z hiperargininemią nie jest w stanie rozkładać argininy (aminokwasu) ze względu na niedobór enzymu wątrobowego – arginazy-1. W rezultacie arginina gromadzi się w organizmie. Może to powodować problemy w obrębie układu nerwowego, w tym napady padaczkowe i sztywność nóg.

Ze względu na to, że hiperargininemia jest chorobą rzadko występującą, w dniu 14 lipca 2016 r. lek Loargys uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć na stronie internetowej EMA:

ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Substancją czynną zawartą w leku Loargys jest pegzylarginaza.

Jak stosować lek Loargys

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i prowadzić lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z dziedzicznymi chorobami metabolicznymi. Pierwsze dawki należy podawać w miejscu zapewniającym odpowiednie wsparcie medyczne w celu opanowania reakcji alergicznych.

Lek Loargys podaje się raz na tydzień we wlewie dożylnym (kroplówce) lub wstrzyknięciu podskórnym. Dawka zależy od masy ciała pacjenta; można ją dostosować na podstawie stężenia argininy we krwi pacjenta. Konieczne są regularne badania krwi w celu monitorowania stężenia argininy i, w razie potrzeby, dostosowania dawki.

Po odpowiednim przeszkoleniu pacjenci lub ich opiekunowie mogą samodzielnie wykonywać wstrzyknięcia leku Loargys. Przed rozpoczęciem wstrzykiwania leku Loargys pacjenci muszą być poddawani leczeniu przez co najmniej 8 tygodni i otrzymywać stałą dawkę podtrzymującą. Ponadto ryzyko wystąpienia reakcji alergicznych na lek Loargys musi zostać ocenione jako niskie.

Lek Loargys należy stosować wraz z innymi metodami leczenia choroby, w tym dietą o małej zawartości białka, suplementami zawierającymi aminokwasy i wszelkimi innymi lekami niezbędnymi do leczenia choroby.

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



Więcej informacji o sposobie stosowania leku Loargys znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Loargys

Substancja czynna leku Loargys, pegzylarginaza, działa w podobny sposób jak arginaza-1 – enzym, którego niedobór występuje u osób z hiperargininemią. Pegzylarginaza rozkłada nadmiar argininy z krwi. Zapobiega to uszkodzeniu mózgu i innych narządów.

Korzyści ze stosowania leku Loargys wykazane w badaniach

Lek Loargys porównywano z placebo (leczenie pozorowane) w badaniu z udziałem 32 osób dorosłych i dzieci z hiperargininemią. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana stężenia argininy we krwi po 24 tygodniach leczenia. W badaniu wykazano, że stężenie argininy zostało obniżone o 77% u pacjentów, u których stosowano Loargys, podczas gdy u pacjentów otrzymujących placebo nie odnotowano zmniejszenia stężenia argininy.

Chociaż w badaniu zasugerowano również, że lek Loargys w porównaniu z placebo może poprawiać umiejętności motoryczne, różnica nie była istotna statystycznie (tj. może to być kwestia przypadku). Wstępne dane z dłuższego okresu, zebrane po 24-tygodniowym okresie leczenia, wskazywały jednak, że umiejętności motoryczne (chodzenie i stanie) mogą się stabilizować lub stopniowo poprawiać się w wyniku długoterminowego stosowania leku.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Loargys

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Loargys znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Loargys to reakcje alergiczne (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Loargys w UE

Wykazano, że lek Loargys obniża stężenie argininy u pacjentów z hiperargininemią. Dane wskazują również, że długotrwała terapia lekiem Loargys stopniowo poprawia lub stabilizuje umiejętności motoryczne pacjentów. Chociaż dane dotyczące bezpieczeństwa są ograniczone, działania niepożądane uznaje się na ogół za możliwe do opanowania. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Loargys przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Loargys dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Loargys z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

W związku z tym, że lek Loargys został dopuszczony do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, w momencie dopuszczenia do obrotu firma wprowadzająca lek Loargys do obrotu zobowiązana była do przedstawiania corocznych aktualizacji zbioru danych z dwóch badań wykorzystujących dane z rejestrów dotyczących długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa stosowania pegzylarginazy u pacjentów z hiperargininemią. Firma przedstawi również końcowe wyniki dwóch badań dotyczących długoterminowego bezpieczeństwa stosowania, tolerancji i skuteczności pegzylarginazy u osób dorosłych, młodzieży i dzieci z hiperargininemią. Przedstawi ona również aktualizację danych na temat

wszelkich nowych informacji dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku w populacji, dla której jest on przeznaczony.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Loargys

Firma wprowadzająca lek Loargys do obrotu zapewni pacjentom i opiekunom materiały edukacyjne na temat sposobu postępowania z lekiem i wstrzykiwania go, informujące ich o ryzyku wystąpienia poważnych reakcji alergicznych oraz o konieczności skontaktowania się z lekarzem w przypadku wystąpienia objawów.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Loargys w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Loargys są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Loargys są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Loargys

Dalsze informacje dotyczące leku Loargys znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.