



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilarginază*)

Prezentare generală a Loargys și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Loargys și pentru ce se utilizează?

Loargys este un medicament care se utilizează pentru tratarea persoanelor cu vârsta peste 2 ani cu hiperargininemie.

Pacienții cu hiperargininemie nu pot descompune aminoacidul arginină din cauză că le lipsește enzima hepatică arginază 1. Prin urmare, arginina se acumulează în organism, ceea ce poate cauza probleme ale sistemului nervos, de exemplu convulsii și rigiditatea picioarelor.

Hiperargininemia este rară, iar Loargys a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 14 iulie 2016. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe site-ul EMA: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys conține substanța activă pegzilarginază.

Cum se utilizează Loargys?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratarea pacienților cu boli metabolice ereditare. Primele doze trebuie administrate într-un loc în care există asistență medicală adecvată pentru gestionarea reacțiilor alergice.

Loargys se administrează o dată pe săptămână, sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă) sau de injecție subcutanată (sub piele). Doza depinde de greutatea pacientului și poate fi ajustată în funcție de concentrația de arginină din sângele pacientului. Trebuie efectuate regulat analize de sânge pentru monitorizarea argininei și ajustarea dozei, dacă este nevoie.

Pacienții sau persoanele care îi îngrijesc pot administra singuri injecția cu Loargys după o instruire corespunzătoare. Ca să-și poată administra singuri injecția cu Loargys, pacienții trebuie să fi făcut tratamentul cel puțin 8 săptămâni și să primească o doză de întreținere stabilă. În plus, trebuie să aibă un risc de reacții alergice la Loargys evaluat ca fiind scăzut.

Loargys se utilizează împreună cu alte măsuri de gestionare a bolii, de exemplu un regim alimentar sărac în proteine, suplimente cu aminoacizi și orice alte medicamente necesare pentru tratarea bolii.



Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Loargys, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Loargys?

Substanța activă din Loargys, pegzilarginaza, acționează în mod similar cu arginaza 1, enzima care lipsește la persoanele cu hiperargininemie. Pegzilarginaza descompune arginina în exces din sânge, ceea ce previne deteriorarea creierului și a altor organe.

Ce beneficii a prezentat Loargys pe parcursul studiilor?

Loargys a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv) într-un studiu care a cuprins 32 de adulți, adolescenți și copii cu hiperargininemie. Principala măsură a eficacității a fost modificarea concentrației de arginină din sânge după 24 de săptămâni de tratament. Studiul a arătat că, la pacienții tratați cu Loargys, concentrația de arginină s-a redus cu 77 %, iar la pacienții cărora li s-a administrat placebo nu s-a înregistrat nicio reducere a concentrației de arginină.

Deși studiul a sugerat, de asemenea, că Loargys poate îmbunătăți funcția motorie față de placebo, diferența nu a fost semnificativă statistic (adică poate fi întâmplătoare). Cu toate acestea, datele preliminare pe termen mai lung colectate după perioada de tratament de 24 de săptămâni au indicat că funcția motorie (mersul pe jos și statul în picioare) se poate stabili sau se poate îmbunătăți treptat în cazul utilizării medicamentului pe termen lung.

Care sunt riscurile asociate cu Loargys?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Loargys, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Loargys sunt reacțiile alergice (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10).

De ce a fost autorizat Loargys în UE?

S-a arătat că Loargys reduce concentrația de arginină la pacienții cu hiperargininemie. De asemenea, datele au indicat că tratamentul de lungă durată cu Loargys îmbunătățește sau stabilizează treptat funcțiile motorii ale pacienților. Deși datele privind siguranța sunt limitate, reacțiile adverse sunt, în general, considerate gestionabile terapeutic. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Loargys sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Loargys a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Loargys. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Întrucât Loargys a fost autorizat în condiții excepționale, la momentul autorizării, compania care comercializează Loargys trebuia să furnizeze actualizări anuale cu privire la colectarea datelor din două studii de registru privind eficacitatea și siguranța pe termen lung a pegzilarginazei la pacienții cu hiperargininemie. Compania va furniza, de asemenea, rezultatele finale din două studii privind siguranța, tolerabilitatea și eficacitatea pegzilarginazei pe termen lung la adulți, adolescenți și copii cu hiperargininemie. Va furniza, de asemenea, o actualizare anuală a informațiilor noi privind eficacitatea și siguranța medicamentului în rândul populației vizate.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Loargys?

Compania care comercializează Loargys va furniza pacienților și îngrijitorilor materiale educaționale cu privire la manipularea și injectarea medicamentului, pentru a-i informa despre riscurile de reacții alergice severe și necesitatea de a se adresa medicului dacă au simptome.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Loargys, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Loargys sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Loargys sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Loargys

Mai multe informații despre Loargys se pot găsi pe site-ul agenției:

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