



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilargináza*)

Prehľad o lieku Loargys a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Loargys a na čo sa používa?

Liek Loargys sa používa na liečbu osôb vo veku od 2 rokov s hyperargininémiou.

Pacienti s hyperargininémiou nedokážu v tele rozložiť aminokyselinu arginín, pretože majú nedostatok pečeneového enzýmu argináza 1. V dôsledku toho sa v tele hromadí arginín. Môže to spôsobiť problémy s nervovou sústavou vrátane záchvatov a stuhnutosti v nohách.

Hyperargininémia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Loargys 14. júla 2016 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na webovej stránke agentúry EMA: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Liek Loargys obsahuje liečivo pegzilargináza.

Ako sa liek Loargys používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s dedičnými metabolickými chorobami. Prvé dávky sa majú podávať na mieste, kde je k dispozícii príslušné lekárske vybavenie na zvládnutie alergických reakcií.

Liek Loargys sa podáva jedenkrát týždenne vo forme infúzie (na kvapkanie) do žily alebo vo forme injekcie pod kožu. Dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta. Môže sa upraviť na základe hladiny arginínu v krvi pacienta. Pravidelne sa majú vykonávať krvné testy na monitorovanie hladiny arginínu a v prípade potreby sa má dávka upraviť.

Po príslušnom zaškolení si môžu liek Loargys podávať pacienti sami alebo im ho môžu podávať ich opatrovatelia. Pred podaním injekcie lieku Loargys musia pacienti podstúpiť liečbu v trvaní najmenej 8 týždňov a musia užívať stabilnú udržiavaciu dávku. Riziko vzniku alergických reakcií na liek Loargys musí byť okrem toho u týchto pacientov vyhodnotené ako nízke.

Liek Loargys sa má používať spolu s ďalšími opatreniami na liečbu ochorenia vrátane prijímania nízkoproteínovej stravy, užívania doplnkov aminokyselín a akýchkoľvek iných liekov potrebných na liečbu ochorenia.

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



Viac informácií o používaní lieku Loargys si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Loargys účinkuje?

Liečivo lieku Loargys, pegzilargináza, účinkuje podobným spôsobom ako argináza 1, enzým, ktorý chýba u osôb s hyperargininémiou. Pegzilargináza rozkladá nadbytočný arginín v krvi. Zabraňuje tým poškodeniu mozgu a iných orgánov.

Aké prínosy lieku Loargys boli preukázané v štúdiách?

Liek Loargys sa porovnával s placebom (zdanlivým liekom) v štúdií, na ktorej sa zúčastnilo 32 dospelých a detí s hyperargininémiou. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena hladiny arginínu v krvi po 24 týždňoch liečby. V štúdií sa preukázalo, že hladiny arginínu sa znížili o 77 % u pacientov liečených liekom Loargys, zatiaľ čo u pacientov, ktorým sa podávalo placebo, nedošlo k žiadnemu zníženiu hladiny arginínu.

Hoci zo štúdie tiež vyplynulo, že liek Loargys môže v porovnaní s placebom zlepšiť motorickú funkciu, rozdiel nebol štatisticky významný (t. j. môže byť spôsobený náhodou). Z predbežných dlhodobých údajov zhromaždených po 24-týždňovom období liečby však vyplynulo, že motorická funkcia (chôdza a státie) sa môže pri dlhodobom užívaní lieku stabilizovať alebo postupne zlepšiť.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Loargys?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Loargys a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Loargys zahŕňajú alergické reakcie (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10).

Prečo bol liek Loargys povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Loargys znižuje hladinu arginínu u pacientov s hyperargininémiou. Z údajov tiež vyplýva, že dlhodobá liečba liekom Loargys postupne zlepšuje alebo stabilizuje motorické schopnosti pacientov. Hoci sú údaje o bezpečnosti obmedzené, vedľajšie účinky sa vo všeobecnosti považujú za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Loargys sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Loargys bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Loargys. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Kedže liek Loargys bol povolený za mimoriadnych okolností, v čase vydania povolenia bola spoločnosť, ktorá liek Loargys uvádza na trh, povinná poskytnúť ročné aktualizácie o zbere údajov z dvoch štúdií založených na registri o dlhodobej účinnosti a bezpečnosti pegzilarginázy u pacientov s hyperargininémiou. Spoločnosť predloží aj konečné výsledky z dvoch štúdií o dlhodobej bezpečnosti, znášanlivosti a účinnosti pegzilarginázy u dospelých, dospievajúcich a detí s hyperargininémiou. Takisto bude každoročne poskytovať aktuálne údaje o všetkých nových informáciách o účinnosti a bezpečnosti lieku v rámci cieľovej populácie.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Loargys?

Spoločnosť, ktorá liek Loargys uvádza na trh, poskytne pacientom a opatrovateľom vzdelávací materiál o tom, ako používať a podávať liek, aby boli informovaní o rizikách vzniku závažných alergických reakcií a o tom, je potrebné obrátiť sa na lekára, ak sa u nich vyskytnú príznaky.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Loargys boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Loargys sa neustále monitorujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Loargys sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Loargys

Ďalšie informácie o lieku Loargys sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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