



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Loargys (*pegzilarginaza*)

Pregled zdravila Loargys in zakaj je odobreno v EU

### Kaj je zdravilo Loargys in za kaj se uporablja?

Loargys je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje ljudi, starejših od dveh let, s hiperargininemijo.

Bolniki s hiperargininemijo ne morejo razgraditi aminokislina arginina, ker nimajo jetrnega encima arginaza 1. Zaradi tega se arginin kopiči v telesu. To lahko povzroči težave z živčnim sistemom, vključno z epileptičnimi napadi in togostjo v nogah.

Hiperargininemija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Loargys 14. julija 2016 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na spletni strani agencije EMA: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701](https://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701).

Zdravilo Loargys vsebuje učinkovino pegzilarginaza.

### Kako se zdravilo Loargys uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z dednimi presnovnimi boleznimi. Prvi odmerki se dajejo v okolju, kjer je na voljo ustrezna medicinska oprema za obvladovanje alergijskih reakcij.

Zdravilo Loargys se daje enkrat tedensko z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno ali injiciranjem v podkožje. Odmerek je odvisen od bolnikove telesne mase; lahko se prilagodi glede na ravni arginina v bolnikovi krvi. Za spremljanje arginina in po potrebi prilagoditev odmerka so potrebne redne krvne preiskave.

Bolniki ali njihovi negovalci si lahko po ustreznem usposabljanju zdravilo Loargys injicirajo sami. Preden si bolniki lahko injicirajo zdravilo Loargys, se morajo zdraviti vsaj osem tednov in prejemati stabilen vzdrževalni odmerek. Poleg tega mora biti njihovo tveganje za alergijske reakcije na zdravilo Loargys ocenjeno kot majhno.

Zdravilo Loargys je treba uporabljati skupaj z drugimi ukrepi za obvladovanje bolezni, vključno z dieto z nizko vsebnostjo beljakovin, aminokislinskimi dodatki in vsemi drugimi zdravili, potrebnimi za obvladovanje bolezni.

Za več informacij glede uporabe zdravila Loargys glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

---

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Kako zdravilo Loargys deluje?**

Učinkovina v zdravilu Loargys, pegzilarginaza, deluje podobno kot arginaza 1, tj. encim, ki ga primanjkuje pri ljudeh s hiperargininemijo. Pegzilarginaza razgradi presežek arginina iz krvi. To preprečuje poškodbe možganov in drugih organov.

## **Kakšne koristi zdravila Loargys so se pokazale v študijah?**

Zdravilo Loargys so primerjali s placebom (zdravilom brez učinkovine) v študiji, v katero je bilo vključenih 32 odraslih in otrok s hiperargininemijo. Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba ravni arginina v krvi po 24 tednih zdravljenja. Študija je pokazala, da so se ravni arginina znižale za 77 % pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Loargys, medtem ko se ravni arginina pri bolnikih, ki so prejeli placebo, niso znižale.

Čeprav je študija pokazala tudi, da lahko zdravilo Loargys v primerjavi s placebom izboljša motorično funkcijo, razlika ni bila statistično pomembna (tj. lahko je posledica naključja). Vendar pa so predhodni dolgoročni podatki, zbrani po 24-tedenskem zdravljenju, pokazali, da se lahko motorična funkcija (hoja in stanje) z dolgotrajno uporabo zdravila stabilizira ali postopoma izboljša.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Loargys?**

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Loargys glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Loargys vključujejo alergijske reakcije (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov).

## **Zakaj je bilo zdravilo Loargys odobreno v EU?**

Dokazano je bilo, da zdravilo Loargys zniža ravni arginina pri bolnikih s hiperargininemijo. Podatki kažejo tudi, da dolgotrajno zdravljenje z zdravilom Loargys postopoma izboljša ali stabilizira motorične sposobnosti bolnikov. Čeprav so podatki o varnosti zdravila omejeni, neželeni učinki na splošno veljajo za obvladljive. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Loargys večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Loargys je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in po potrebi posodobila ta pregled.

Ker je bilo zdravilo Loargys odobreno v izjemnih okoliščinah, je moralo podjetje, ki ga trži, v času izdaje dovoljenja predložiti letne posodobljene informacije o zbiranju podatkov iz dveh študij na podlagi registra o dolgoročni učinkovitosti in varnosti pegzilarginaze pri bolnikih s hiperargininemijo. Podjetje bo predložilo tudi končne rezultate dveh študij o dolgoročni varnosti, prenašanju in učinkovitosti pegzilarginaze pri odraslih, mladostnikih in otrocih s hiperargininemijo. Prav tako bo vsako leto predložilo posodobljene informacije o kakršnih koli novih informacijah o učinkovitosti in varnosti zdravila pri predvideni populaciji.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Loargys?**

Podjetje, ki trži zdravilo Loargys, bo bolnikom in negovalcem priskrbelo izobraževalno gradivo o ravnanju z zdravilom in njegovem injiciranju ter jih obvestilo o tveganjih za hude alergijske reakcije in potrebi po posvetovanju z zdravnikom, če se pojavijo simptomi.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Loargys upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Loargys stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Loargys, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

## **Druge informacije o zdravilu Loargys**

Nadaljnje informacije za zdravilo Loargys so na voljo na spletni strani agencije:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys).