



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Loargys (*pegzilarginas*)

Sammanfattning av Loargys och varför det är godkänt inom EU

Vad är Loargys och vad används det för?

Loargys är ett läkemedel som används för att behandla personer från två års ålder med hyperargininemi.

Patienter med hyperargininemi kan inte bryta ned aminosyran arginin eftersom de saknar leverenzymet arginas 1. Som en följd av detta ackumuleras arginin i kroppen. Detta kan leda till problem med nervsystemet, såsom krampanfall och stelhet i benen.

Hyperargininemi är sällsynt och Loargys klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 14 juli 2016. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701.

Loargys innehåller den aktiva substansen pegzilarginas.

Hur används Loargys?

Läkemedlet är receptbelagt och behandlingen ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med ärftliga metaboliska sjukdomar. De första doserna ska ges på en plats med lämpliga medicinska stödåtgärder för hantering av allergiska reaktioner.

Loargys ges en gång i veckan, som en infusion (dropp) i en ven eller som en injektion under huden. Dosen beror på patientens vikt och kan justeras baserat på nivåerna av arginin i patientens blod. Regelbundna blodprov behöver tas för att övervaka argininnivåerna och vid behov justera dosen.

Patienterna eller deras vårdare kan själva injicera Loargys efter att de har lärt sig hur man gör. Innan patienterna kan injicera Loargys måste de ha genomgått minst 8 veckors behandling och stå på en stabil underhållsdos. Dessutom måste deras risk för allergiska reaktioner mot Loargys bedömas som låg.

Loargys ska användas tillsammans med andra åtgärder för att hantera sjukdomen, bland annat en lågproteinkost, aminosyratillskott och alla andra läkemedel som behövs för att hantera sjukdomen.

För mer information om hur du använder Loargys, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.



Hur verkar Loargys?

Den aktiva substansen i Loargys, pegzilarginas, verkar på ett liknande sätt som arginas 1, det enzym som saknas hos personer med hyperargininemi. Pegzilarginas bryter ner överskottet av arginin i blodet. Detta förebygger skador på hjärnan och andra organ.

Vilka fördelar med Loargys har visats i studierna?

Loargys jämfördes med placebo (overksam behandling) i en studie på 32 vuxna och barn med hyperargininemi. Huvudeffektområdet var förändringen av argininnivåerna i blodet efter 24 veckors behandling. Studien visade att argininnivåerna sänktes med 77 procent hos patienter som behandlades med Loargys, medan det inte förekom några sänkta argininnivåer hos patienterna som fick placebo.

Även om studien också tydde på att Loargys kan förbättra motoriken jämfört med placebo så var skillnaden inte statistiskt signifikant (dvs. den kan bero på slumpen). Preliminära långsiktiga data som samlades in efter den 24 veckor långa behandlingsperioden tyder dock på att motoriken (gång och stående) kan stabiliseras eller gradvis förbättras vid långvarig användning av läkemedlet.

Vilka är riskerna med Loargys?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Loargys finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Loargys är allergiska reaktioner (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare).

Varför är Loargys godkänt i EU?

Loargys visade sig minska argininnivåerna hos patienter med hyperargininemi. Uppgifterna visade också att patienternas motoriska färdigheter gradvis förbättras eller stabiliseras vid långvarig behandling med Loargys. Även om säkerhetsuppgifterna är begränsade anses biverkningarna i allmänhet vara hanterbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Loargys är större än riskerna och att Loargys kan godkännas för försäljning i EU.

Loargys har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Loargys eftersom sjukdomen är sällsynt. EMA går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

Eftersom Loargys godkändes i enlighet med reglerna om godkännande i undantagsfall var företaget som marknadsför Loargys vid tidpunkten för godkännandet skyldigt att lämna in årliga uppdateringar om insamlingen av data från två registerbaserade studier om pegzilarginas långsiktiga effekt och säkerhet hos patienter med hyperargininemi. Företaget kommer också att tillhandahålla slutresultaten från två studier om den långsiktiga säkerheten, tolerabiliteten och effekten av pegzilarginas hos vuxna, ungdomar och barn med hyperargininemi. De kommer även att lämna en årlig uppdatering om all ny information om läkemedlets effekt och säkerhet i den avsedda populationen.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Loargys?

Företaget som marknadsför Loargys kommer att förse patienter och vårdare med utbildningsmaterial om hur de ska hantera och injicera läkemedlet, för att de ska informeras om riskerna för allvarliga allergiska reaktioner och att deras läkare måste kontaktas om de får symtom.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Loargys har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Loargys kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Loargys utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Loargys

Mer information om Loargys finns på EMA:s webbplats:

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