

Pakkausseloste: Tietoa potilaalle

Loargys 5 mg/ml injektio-/infuusioneste, liuos pegtsilarginaasi

▼ Tähän lääkevalmisteeseen kohdistuu lisäseuranta. Tällä tavalla voidaan havaita nopeasti turvallisuutta koskevaa uutta tietoa. Voit auttaa ilmoittamalla kaikista mahdollisesti saamistasi haittavaikutuksista. Ks. kohdan 4 lopusta, miten haittavaikutuksista ilmoitetaan.

Lue tämä pakkausseloste huolellisesti ennen kuin sinulle annetaan tätä lääkettä, sillä se sisältää sinulle tärkeitä tietoja.

- Säilytä tämä pakkausseloste. Voit tarvita sitä myöhemmin.
- Jos sinulla on kysyttävää, käänny lääkärin tai sairaanhoitajan puoleen.
- Jos havaitset haittavaikutuksia, kerro niistä lääkärille tai sairaanhoitajalle. Tämä koskee myös sellaisia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu tässä pakkausselosteessa. Ks. kohta 4.

Tässä pakkausselosteessa kerrotaan:

1. Mitä Loargys on ja mihin sitä käytetään
2. Mitä sinun on tiedettävä ennen kuin sinulle annetaan Loargys-valmistetta
3. Miten Loargys-valmistetta annetaan
4. Mahdolliset haittavaikutukset
5. Loargys-valmisteen säilyttäminen
6. Pakkauksen sisältö ja muuta tietoa
7. Käyttöohjeet

1. Mitä Loargys on ja mihin sitä käytetään

Loargysin vaikuttava aine on pegtsilarginaasi, joka on yhdistelmä-DNA-tekniikalla tuotettu muunnettu ihmisen entsyymi. Läkettä käytetään aikuisten, nuorten ja vähintään 2-vuotiaiden lasten arginaasi 1:n puutoksen (ARG1-puutos), jota kutsutaan myös hyperargininemiaksi, hoitoon.

ARG1-puutosta sairastavien potilaiden arginaasiksi kutsutun entsyymin pitoisuus on alhainen. Kyseinen entsyymi auttaa säätämään arginiinipitoisuutta elimistössä. Arginiini on aminohappo, jota keho tarvitsee proteiinien tuotantoon. Säätämätön arginiini voi kerääntyä elimistöön ja aiheuttaa oireita, kuten lihasten hallintaan liittyviä ongelmia.

Loargysia käytetään yhdessä muiden keinojen kanssa sairauden hallitsemiseksi. Näihin voivat kuulua seuraavat:

- vähäproteiininen ruokavalio
- välttämättömiä aminohappoja sisältävät ravintolisät
- muut sairauden oireiden hoitoon käytettävät lääkkeet, kuten elimistön ammoniakkipitoisuutta vähentävät lääkkeet.

Miten Loargys vaikuttaa

Loargys-valmisteen vaikuttava aine pegtsilarginaasi vaikuttaa samalla tavalla kuin luonnollinen arginaasientsyymi, jota ARG1-puutosta sairastavilla potilailla ei ole tai joka toimii puutteellisesti. Tämä alentaa veren arginiinipitoisuutta ja siten lievittää sairauden oireita.

2. Mitä sinun on tiedettävä ennen kuin sinulle annetaan Loargys-valmistetta

Sinulle ei saa antaa Loargys-valmistetta,

- jos olet aiemmin saanut vaikean allergisen reaktion pegtsilarginaasista tai jostakin muusta tässä lääkkeessä olevasta aineesta (lueteltu kohdassa 6).

Varoitukset ja varotoimet

Loargys voi aiheuttaa allergisia reaktioita. Allerginen reaktio ilmenee todennäköisimmin muutaman ensimmäisen annoksen jälkeen, mutta niitä voi ilmetä myös myöhemmin hoidon aikana.

Mikäli mahdollista, lopeta lääkkeenotto välittömästi, noudata lääkärin ohjeita ja hakeudu lääkärin hoitoon viipymättä, jos sinulla ilmenee jokin seuraavista vaikean allergisen reaktion oireista: nokkosihottuma, yleistynyt kutina, puristava tunne rinnassa, hengitysvaikeudet tai alhainen verenpaine. Lääkäri voi päättää, että tarvitset lisähoitoa allergisen reaktion ehkäisemiseksi tai hoitamiseksi.

Hoidon aikana lääkärisi tekee verikokeita tarkistaakseen, mikä Loargys-annos on sinulle sopiva.

Lapset ja nuoret

Lääkettä ei saa antaa alle 2-vuotiaille lapsille, koska ei tiedetä, onko Loargys turvallinen ja tehokas tässä ikäryhmässä.

Muut lääkevalmisteet ja Loargys

Kerro lääkärille, jos parhaillaan otat tai olet äskettäin ottanut tai saatat ottaa muita lääkkeitä.

Raskaus, imetys ja hedelmällisyys

Jos olet raskaana tai imetät, epäilet olevasi raskaana tai jos suunnittelet lapsen hankkimista, kysy lääkäriltä neuvoa ennen tämän lääkkeen käyttöä. Loargysia ei suositella käytettäväksi, jos olet raskaana.

Ei tiedetä, erittyykö lääke rintamaitoon. Jos imetät, kysy lääkäriltäsi neuvoa ennen tämän lääkkeen käyttöä. Lääkäri auttaa tekemään päätöksen imetyksen lopettamisesta tai hoidosta luopumisesta.

Ajaminen ja koneiden käyttö

Loargysilla ei ole haitallista vaikutusta ajokykyyn ja koneidenkäyttökykyyn.

Loargys sisältää natriumia ja kaliumia

Tämä lääke sisältää alle 1 mmol natriumia (23 mg) per annos eli se on käytännössä natriumiton.

Tämä lääke sisältää alle 1 mmol kaliumia (39 mg) per annos eli se on käytännössä kaliumiton.

3. Miten Loargys-valmistetta annetaan

Loargysin antaa terveydenhuollon ammattilainen. Lääkäri päättää sinulle annettavan Loargysin määrän.

Loargys-valmisteen suositeltu aloitusannos on 0,1 mg potilaan painokiloa kohti kerran viikossa. Lääkäri voi suurentaa tai pienentää annosta, jotta veren arginiinipitoisuus pysyy hallinnassa. Lääkäri ottaa säännöllisesti verikokeita tarkistaakseen veren arginiinipitoisuuden ja muuttaa tarvittaessa annosta.

Loargys annetaan infuusiona (tiputuksena) suoraan laskimoon tai injektiona ihon alle, kuten lääkäri katsoo aiheelliseksi.

Lääkäri voi päättää, että Loargys voidaan antaa kotona injektiona ihon alle. Voit pistää Loargys-valmisteen itse (katso ohjeet kohdasta 7) saatuasi opastusta lääkäriltä tai sairaanhoitajalta.

Käytä tätä lääkettä juuri siten kuin tässä pakkausselosteessa kuvataan tai kuten lääkäri on määrännyt tai apteekkihenkilökunta tai sairaanhoitaja neuvonut. Tarkista ohjeet lääkäriltä, apteekista tai sairaanhoitajalta, jos olet epävarma.

Jos sinulle annetaan liikaa Loargys-valmistetta

Lääkäri varmistaa, että saat oikean määrän Loargysia. Jos sinulle on annettu liikaa Loargysia, veren arginiinipitoisuus saattaa madaltua liian alhaiseksi. Oireita voivat olla pahoinvointi, oksentelu, ripuli ja

väsymys. Jos epäilet tai jos lääkärisi epäilee, että sinulle on annettu liikaa Loargys-valmistetta, sinua on seurattava tarkoin, ja sinulle on annettava tarvittaessa hoitoa.

Jos unohdat käyttää Loargys-valmistetta

Jos Loargys-annos on jäänyt väliin, ota yhteyttä lääkäriin, jotta seuraava annos voidaan antaa mahdollisimman pian. Sinulle ei saa antaa kaksinkertaista annosta unohdetun annoksen korvaamiseksi, ja annosten välillä on oltava vähintään neljä päivää.

Jos lopetat Loargys-valmisteen käytön

Lääkäri päättää, pitääkö Loargys-valmisteen käyttö lopettaa. Jos lopetat Loargysin käytön, veren arginiinipitoisuus todennäköisesti nousee uudestaan.

Jos sinulla on kysymyksiä tämän lääkkeen käytöstä, käänny lääkärin tai sairaanhoitajan puoleen.

4. Mahdolliset haittavaikutukset

Kuten kaikki lääkkeet, tämäkin lääke voi aiheuttaa haittavaikutuksia. Kaikki eivät kuitenkaan niitä saa.

Hyvin yleiset (saattaa esiintyä useammalla kuin yhdellä henkilöllä kymmenestä)

- injektiokohdan reaktio. Oireita voivat olla kipu, turvotus, ärsytys, punoitus ja ihottuma injektiokohdan ympärillä.
- allerginen reaktio (yliherkkyys). Oireita voivat olla kasvojen turvotus, ihottuma, äkillinen ihon punoitus ja hengenahdistus.

Haittavaikutuksista ilmoittaminen

Jos havaitset haittavaikutuksia, kerro niistä lääkärille tai sairaanhoitajalle. Tämä koskee myös sellaisia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu tässä pakkausselosteessa. Voit ilmoittaa haittavaikutuksista myös suoraan [liitteessä V](#) luetellun kansallisen ilmoitusjärjestelmän kautta. Ilmoittamalla haittavaikutuksista voit auttaa saamaan enemmän tietoa tämän lääkevalmisteen turvallisuudesta.

5. Loargys-valmisteen säilyttäminen

Ei lasten ulottuville eikä näkyville.

Älä käytä tätä lääkettä etiketissä mainitun viimeisen käyttöpäivämäärän jälkeen. Viimeinen käyttöpäivämäärä tarkoittaa kuukauden viimeistä päivää.

Säilytys jääkaapissa (2–8 °C). Ei saa jäätyä. Säilytä alkuperäispakkauksessa valolta suojattuna.

Loargys säilyy 2 tuntia huoneenlämmössä (enintään 25 °C) jääkaapista ottamisen jälkeen.

Lääkkeitä ei pidä heittää viemäriin eikä hävittää talousjätteiden mukana. Näin menetellen suojelet luontoa.

6. Pakkauksen sisältö ja muuta tietoa

Mitä Loargys sisältää

- Vaikuttava aine on pegtsilarginaasi.
 - Yksi 0,4 ml injektiopullo sisältää 2 mg pegtsilarginaasia.
 - Yksi 1 ml injektiopullo sisältää 5 mg pegtsilarginaasia.
 - Muut aineet ovat natriumkloridi, kaliumdivetyfosfaatti, dikaliumfosfaatti, glyseroli, suolahappo, natriumhydroksidi ja injektionesteisiin käytettävä vesi.
- Loargys sisältää natriumia ja kaliumia, ks. kohta 2.

Lääkevalmisteen kuvaus ja pakkauskoko (-koot)

Loargys on väritön tai hieman kellertävä tai hieman vaaleanpunainen, kirkas tai hieman opaalinhohtoinen (helmenhohtoinen) neste kirkkaasta lasista valmistetussa injektio-/-infuusionestettä.

Kukin pakkaus sisältää yhden injektiopullon, jossa on joko 0,4 ml tai 1 ml injektio-/infuusionestettä.

Kaikkia pakkauskokoja ei välttämättä ole myynnissä.

Myyntiluvan haltija ja valmistaja

Immedica Pharma AB
113 63 Tukholma
Ruotsi

Valmistaja

Unimedic AB
Storjordenvägen 2
864 31 Matfors
Ruotsi

Tämä pakkausseloste on tarkistettu viimeksi 09/2025.

Tämän lääkevalmisteen myyntilupa on myönnetty poikkeuksellisin perustein. Se tarkoittaa, että lääkevalmisteesta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja sairauden harvinaisuuden vuoksi. Euroopan lääkevirasto arvioi vuosittain uudet tiedot tästä lääkkeestä, ja tarvittaessa tämä pakkausseloste päivitetään.

Muut tiedonlähteet

Lisätietoa tästä lääkevalmisteesta on saatavilla Euroopan lääkeviraston verkkosivulla <https://www.ema.europa.eu>. Siellä on myös linkkejä muille harvinaisia sairauksia ja niiden hoitoja käsitteleville verkkosivuille.

Tämä pakkausseloste on saatavissa kaikilla EU-kielillä Euroopan lääkeviraston verkkosivustolla.

Tämän lisäksi tämä pakkausseloste ja lääkevalvontaviranomaisen hyväksymä tätä lääkettä koskeva koulutusmateriaali löytyvät skannaamalla alla olevan QR-koodin älypuhelimella tai verkkosivustolla <http://www.loargyspatient.eu>

**7. Käyttöohjeet**

Seuraavissa vaiheissa kuvataan, miten Loargys valmistellaan ja annetaan injektiona ihon alle kotona. Lääkäri tai sairaanhoitaja opastaa sinua Loargysin valmistelussa ja injektoimisessa, jos pistät lääkkeen itse.

Älä injektoida tätä lääkettä itse, ellei ole saanut opastusta ja ellei ymmärrä kaikkia vaiheita.

Lääkäri määrää oikean annoksen ja ilmoittaa, kuinka suuri määrä (ml) injektoidaan. Oikean annokseen tarvitaan mahdollisesti useampi kuin yksi injektiopullo, ja kokonaisannos on ehkä jaettava useampaan kuin yhteen injektioon. Lääkäri tai sairaanhoitaja kertoo, mikä on sinulle tarkalleen sopiva annos.

Injektiopullo on kertakäyttöinen. Käytä jokaiseen annokseen aina uutta injektiopulloa. Loargys-valmistetta ei saa sekoittaa muiden injektio- tai infuusionesteiden kanssa. Älä ravista.

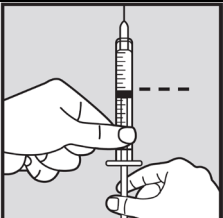
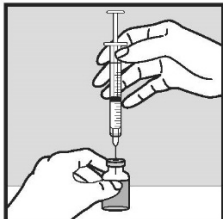
Valmistelu:

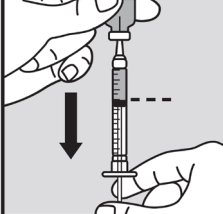
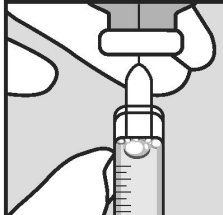
Varmista, että sinulla on kaikki, mitä tarvitset injektiota (injektioita) varten:

- Loargys-injektiopullo(t)
- Mitta-asteikolla varustettu ruisku
- 1 suurikokoinen neula (esim. 18 gaugen neula) injektiopulloa kohti annoksen ottamiseksi injektiopullost
- 1 pienikokoinen neula (esim. 26–27 gaugen neula) injektiota kohti
- Alkoholilla kostutettuja puhdistuslappuja
- Sideharsotaitos
- Laastari tarvittaessa
- Terävän jätteen säiliö

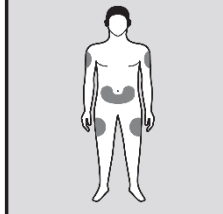
1. Tarkista injektiopullost (-pulloista) lääkkeen nimi ja vahvuus sen varmistamiseksi, että pakkaus sisältää oikean lääkkeen, ja varmista, että sinulla on oikea määrä injektiopulloja. Tarkista viimeinen käyttöpäivämäärä pakkauksesta. Älä käytä valmistetta, jos sen käyttöaika on umpeutunut.
2. Ota avaamaton Loargys-injektiopullo tai pullo jääkaapista 15–30 minuuttia ennen suunniteltua injektiota, jotta liuos lämpenee huoneenlämpöiseksi. Älä lämmitä valmistetta minkään lämmönlähteen avulla.
3. Pese kätesi.
4. Injektiopullon liuoksen tulee olla väritön tai hieman kellertävä tai hieman vaaleanpunainen, kirkas tai hieman opaalinhohtoinen (helmiäishohtoinen). Liuosta ei saa käyttää, jos se on samea tai sisältää näkyviä hiukkasia.
5. Aseta injektiopullo puhtaalle ja tasaiselle pinnalle. Poista injektiopullost muovinen repäisykorkki.
6. Pyyhi injektiopullon yläosa alkoholipitoisella desinfiointilapulla ja anna kuivua. Älä kosketa injektiopullon yläosaa äläkä anna sen koskettaa mitään sen jälkeen, kun se on pyyhitty alkoholipyyhkeellä.

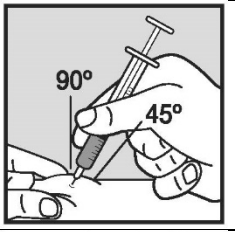
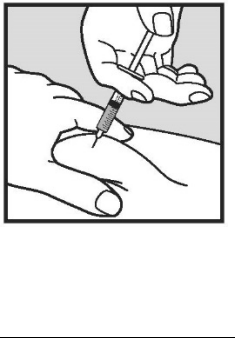
Liuoksen ottaminen injektiopullost:

1. Kiinnitä suurempi neula mitta-asteikolla varustettuun ruiskuun. Poista neulan suojakorkki.	
2. Vedä ruiskun mäntää taaksepäin ja vedä ilmaa ruiskuun siihen kohtaan ruiskun mitta-asteikkoa, joka vastaa injektiopullost otettavaa määrää (ml).	
3. Pidä injektiopullo tasaisella alustalla ja työnnä neula varovasti kumitulpan lävitse injektiopulloon.	
a) Vain yhden tai ensimmäisen injektiopullon yhteydessä: Neulan kärki ei saa koskea liuokseen, jotta vältetään vaahdon muodostuminen. Jatka vaiheeseen 4.	

b) Seuraavien injektiopullojen yhteydessä: Käännä injektiopullo ylösalaisin ja varmista, että neulan kärki on liuoksen yläpuolella olevassa ilmatilassa, jotta vältetään vaahdon muodostuminen.	
4. Työnnä ruiskussa oleva ilma injektiopulloon painamalla mäntää hitaasti.	
5. Pidä neula injektiopullossa ja pidä injektiopulloa ylösalaisin. Neulan ollessa liuoksessa vedä mäntää hitaasti taaksepäin siihen kohtaan mitta-asteikkoa, joka vastaa annettavaa määrää.	
6. Tarkista ennen neulan poistamista injektiopullostä ettei ruiskussa olevassa liuoksessa näy ilmakuplia. Jos liuoksessa näkyy kuplia, pidä injektiopullo edelleen ylösalaisin ja neula ylöspäin. Koputa ruiskun säiliötä kevyesti sormella. Kun kaikki kuplat ovat ruiskun yläosassa, työnnä kuplat ruiskusta takaisin injektiopulloon työntämällä mäntää varovasti.	
7. Tarkista annettava määrä (millilitroina) ruiskussa olevista merkinnöistä sen varmistamiseksi, että olet vetänyt ruiskuun oikean määrän liuosta.	
8. Poista neula injektiopullostä, aseta neulan suojakorkki takaisin paikalleen ja laita neula terävän jätteen säiliöön.	
9. Saatat tarvita useampia injektiopulloja oikeaan annokseen tarvittavan koko määrän vetämiseksi ruiskuun (millilitroina). Tee se toistamalla edellä kuvatut vaiheet 1–8 kunkin koko annoksen (millilitroina) saamiseksi tarvittavan injektiopullon osalta tai kuten lääkäri tai sairaanhoitaja neuvoo. Noudata aina lääkärin tai sairaanhoitajan antamia ohjeita. Muista, että jokaisen uuden injektiopullon kanssa on käytettävä uutta neulaa.	
10. Laita täytettyyn ruiskuun pieni neula, mutta älä poista neulan suojakorkkia vielä. Varmista, että neula on tiukasti paikallaan. Huomio: Jos liuosta ei käytetä heti, suojaa ruisku valolta. Valmistelun jälkeen Loargys-liuosta voidaan säilyttää huoneenlämpötilassa (enintään 25 °C:ssa) enintään kaksi tuntia ennen antamista. Tämän ajan kuluttua valmisteltua Loargys-liuosta ei saa enää käyttää, ja se on hävitettävä.	

Annoksen antaminen:

1. Poista neulan suojakorkki. Pidä ruiskua neula ylöspäin ja poista mahdolliset ilmakuplat koputtamalla sormella ruiskun säiliötä. Tarkista silmämääräisesti, että ruiskun sisältämä annos on oikea. Lääkkeen määrä injektioita kohden ei saa olla suurempi kuin 1 ml. Jos määrä on suurempi, injektioita on annettava useampi kuin yksi käyttämällä eri injektioaikkoja.	
2. Valitse injektio kohta (vatsa, reiden ulkosivu, olkavarren sivu- tai takaosa). Vaihda injektio kohtaa annosten välillä. Älä pistä lääkettä punoittavaan, tulehtuneeseen tai turvonneeseen kohtaan. Vatsan alueelle pistettäessä on vältettävä napaa välittömästi ympäröivää aluetta. Jos yhtä Loargys-annosta varten tarvitaan enemmän kuin yksi injektio, injektio kohtien on oltava vähintään 3 cm:n etäisyydellä toisistaan.	
3. Puhdista injektio kohta alkoholipitoisella desinfiointilapulla ja anna ihon kuivua.	

4. Purista valitun injektiokohdan iho varovasti peukalon ja etusormen väliin.	
5. Pidä ruiskusta kiinni kuten kynästä tai tikasta. Työnnä neula koholla olevaan ihoon siten, että pistokulma on 45°–90° ihon pintaan nähden.	
6. Jatka injektiokohdan ihon puristamista ja työnnä ruiskun mäntää hitaasti, kunnes tarvittava määrä on annettu. Muistutus: Jos Loargys-valmistetta on pistettävä enemmän kuin 1 ml, vaihda injektiokohtaa ja varmista, että uusi injektiokohta on vähintään 3 cm:n päässä edellisestä. Työnnä ruiskun mäntää hitaasti, kunnes tarvittava määrä on annettu. Toista tämä, kunnes olet antanut koko annoksen (millilitroina). Käytä aina uutta pientä neulaa jokaista injektiota varten.	
7. Poista ruisku vetämällä se kohtisuoraan ulos. Vapauta ihopoimu ja laita sideharso varovasti injektiokohdan päälle muutamaksi sekunniksi. Käytä tarvittaessa laastaria.	
8. Kerää käytetyt ruiskut, neulat ja korkit terävän jätteen säiliöön. Käytetyt tyhjt ja käyttämätöntä liuosta sisältävät injektiopullot on hävitettävä paikallisten määräysten mukaisesti.	

Kirjaa ylös injektion päivämäärä ja kaikki injektiokohdat. Tämän ansiosta voit valita eri injektiokohdan seuraavaa injektiota varten.

Seuraavat tiedot on tarkoitettu vain terveydenhuollon ammattilaisille:

Loargys annetaan laskimonsisäisenä infuusiona tai injektiona ihon alle. Loargysin valmistelussa ja annossa on noudatettava aseptista tekniikkaa.

Älä ravista.

Valmisteluohjeet

- Määritä annettavan Loargys-valmisteen kokonaisvolyymi (ja tarvittavien injektiopullojen määrä) potilaan painon ja annostason perusteella.
- Ota injektiopullo(t) jääkaapista, jotta se lämpenee tai ne lämpenevät huoneenlämpöiseksi.
- Tarkasta injektiopullo silmämääräisesti ennen lääkkeen antoa hiukkasten ja värimuutosten varalta.
 - Loargys on väritön tai hieman kellertävä tai hieman vaaleanpunainen, kirkas tai hieman opaalinhohtoinen neste. Siinä ei pitäisi olla näkyviä hiukkasia.
 - Injektiopullot, jotka eivät vastaa tätä ulkonäköä, on hävitettävä.
- Vedä suunniteltu annos ruiskuun.
- Käyttövalmiin annoksen kemiallisen ja fysikaalisen stabiiliteetin on osoitettu säilyvän kahden tunnin ajan enintään 25 °C:n huoneenlämmössä tai enintään neljä tuntia, jos valmistetta säilytetään jäädytettynä 2–8 °C:n lämpötilassa. Jos valmistetta ei käytetä näiden aikarajojen kuluessa, se on hävitettävä. Mikrobiologiselta kannalta lääkevalmiste tulisi käyttää välittömästi

käyttövalmiiksi saattamisen jälkeen.

Laskimonsisäiseen lääkkeen antoon

- Lääke laimennetaan natriumkloridia (9 mg/ml, 0,9 %) sisältävällä injektionesteellä, jotta saavutetaan haluttu infuusiovolyymi (pegtsilarginaasin enimmäispitoisuus on 0,5 mg/ml).
- Annetaan laskimonsisäisenä infuusiona vähintään 30 minuutin ajan.
- Älä sekoita muita lääkkeitä Loargys-valmisteseen äläkä infusoi muita lääkkeitä samanaikaisesti saman intravenöösin reitin kautta.

Ihonalaiseen lääkkeen antoon

- Anna laimentamaton liuos ihonalaisena injektiona vatsaan, reiden ulkosivuun, olkavarren etu- tai takaosaan. Vaihda injektiokohtaa annosten välillä.
- Älä pistä lääkettä punoittavaan, tulehtuneeseen tai turvonneeseen kohtaan.
- Vatsan alueelle pistettäessä on vältettävä napaa välittömästi ympäröivää aluetta.
- Jos yhtä Loargys-annosta varten tarvitaan enemmän kuin yksi injektio, injektiokohtien on oltava vähintään 3 cm:n etäisyydellä toisistaan.

Hävitä käyttämätön osa lääkkeestä.

Ei erityisvaatimuksia hävittämisen suhteen.