

Fylgiseðill: Upplýsingar fyrir sjúkling

Loargys 5 mg/ml stungulyf/innrennslislyf, lausn pegzilargínasi

▼ Þetta lyf er undir sérstöku eftirliti til að nýjar upplýsingar um öryggi lyfsins komist fljótt og örugglega til skila. Allir geta hjálpað til við þetta með því að tilkynna aukaverkanir sem koma fram. Aftast í kafla 4 eru upplýsingar um hvernig tilkynna á aukaverkanir.

Lesið allan fylgiseðilinn vandlega áður en byrjað er að nota lyfið. Í honum eru mikilvægar upplýsingar.

- Geymið fylgiseðilinn. Nauðsynlegt getur verið að lesa hann síðar.
- Leitið til læknisins eða hjúkrunarfræðingsins ef þörf er á frekari upplýsingum.
- Látið lækniinn eða hjúkrunarfræðinginn vita um allar aukaverkanir. Þetta gildir einnig um aukaverkanir sem ekki er minnst á í þessum fylgiseðli. Sjá kafla 4.

Í fylgiseðlinum eru eftirfarandi kaflar:

1. Upplýsingar um Loargys og við hverju það er notað
2. Áður en byrjað er að nota Loargys
3. Hvernig gefa á Loargys
4. Hugsanlegar aukaverkanir
5. Hvernig geyma á Loargys
6. Pakkningar og aðrar upplýsingar
7. Notkunarleiðbeiningar

1. Upplýsingar um Loargys og við hverju það er notað

Loargys inniheldur virka efnið pegzilargínasa, sem er breytt ensím manna sem framleitt er með raðbrigðaerfðatekni. Lyfið er ætlað fullorðnum, unglingum og börnum 2 ára og eldri til meðferðar við skorti á argínasa 1 (ARG1-D), sem einnig nefnist argínínblæði (hyperargininemia).

Sjúklingar með ARG1-D hafa lág gildi ensíms sem nefnist argínasi. Þetta ensím hjálpar líkamanum að hafa stjórn á gildum argíníns, sem er aminosýra sem líkaminn þarf til að mynda prótein. Ef ekki er höfð stjórn á argíníni getur það safnast upp í líkamanum (argínínblæði) og valdið einkennum á borð við erfiðleika við að hafa stjórn á vöðvum.

Loargys er notað samhliða öðrum leiðum til að meðhöndla sjúkdóminn. Þær kunna að vera:

- próteinskert mataræði
- fæðubótarefni sem innihalda aminosýrur
- lyf til að meðhöndla önnur einkenni sjúkdómsins, svo sem lyf sem lækka gildi ammoníaks í líkamanum.

Hvernig Loargys virkar

Pegzilargínasi, virka efnið í Loargys, verkar á svipaðan hátt og náttúrulega ensímið argínasi, sem er af skornum skammti eða starfar ekki sem skyldi hjá sjúklingum með ARG1-D. Það lækkar gildi argíníns í blóði og dregur þar með úr einkennum sjúkdómsins.

2. Áður en byrjað er að nota Loargys

Ekki má gefa þér Loargys

- ef þú hefur fengið alvarleg ofnæmisviðbrögð við pegzilargínasa eða einhverju öðru innihaldsefni lyfsins (talin upp í kafla 6).

Varnaðarorð og varúðarreglur

Loargys getur valdið ofnæmisviðbrögðum. Líklegast er að þau komi fram eftir fyrstu skammtana, en

en þau gætu einnig komið fram síðar í meðferðinni.

Ef hægt er skal stöðva lyfjagjöf tafarlaust og fylgja leiðbeiningum læknis, ásamt því að leita lækniðstoðar án tafar ef einhverri eftirfarandi einkenna alvarlegra ofnæmisviðbragða verður vart: ofsakláði, almennur kláði, þyngsli fyrir brjósti, öndunarerfiðleikar eða lágur blóðþrýstingur. Læknirinn gæti ákveðið að þú þurftir að fá viðbótarmeðferð til að koma í veg fyrir eða meðhöndla ofnæmisviðbrögð.

Meðan á meðferðinni stendur mun læknirinn gera blóðrannsóknir til að athuga hvaða skammtur af Loargys henti þér.

Börn og unglingar

Ekki skal gefa lyfið börnum yngri en 2 ára því ekki er vitað hvort Loargys sé öruggt og hafi verkun hjá þessum aldurshópi.

Notkun annarra lyfja samhliða Loargys

Látið lækninn vita um öll önnur lyf sem eru notuð, hafa nýlega verið notuð eða kynnu að verða notuð.

Meðganga, brjóstagjöf og frjósemi

Við meðgöngu, brjóstagjöf, grun um þungun eða ef þungun er fyrirhuguð skal leita ráða hjá læknum áður en lyfið er notað. Ekki er mælt með notkun Loargys á meðgöngu.

Ekki er vitað hvort lyfið berst í brjóstamjólk. Ef þú ert með barn á brjóst, skaltu leita ráða hjá læknum áður en þú notar lyfið. Læknirinn mun hjálpa þér að ákveða hvort þú ættir að hætta brjóstagjöf eða hætta meðferðinni.

Akstur og notkun véla

Loargys hefur engin eða óveruleg áhrif á hæfni til aksturs og notkunar véla.

Loargys inniheldur natríum og kalíum

Lyfið inniheldur minna en 1 mmól (23 mg) af natríum í hverjum skammti, þ.e.a.s. er sem næst natríumlaust. Lyfið inniheldur minna en 1 mmól (39 mg) af kalíum í hverjum skammti, þ.e.a.s. er sem næst kalíumfrítt.

3. Hvernig gefa á Loargys

Heilbrigðisstarfsmaður mun gefa þér Loargys. Læknirinn mun ákveða hve mikið þú færð af Loargys.

Ráðlagður upphafsskammtur Loargys er 0,1 mg á hvert kg líkamsþyngdar einu sinni á viku. Læknirinn gæti stækkað eða minnkað skammtinn til að hafa stjórn á gildum argíníns í blóði. Læknirinn mun gera reglulegar blóðrannsóknir til að athuga gildi argíníns í blóði og breyta skammtinum ef þörf krefur.

Loargys er gefið með innrennsli (dreypi) beint í bláæð eða með inndæling undir húð, eftir því sem læknir telur við hæfi.

Læknirinn gæti ákveðið að þú megir fá Loargys gefið á heimili þínu með inndælingu undir húð. Þú getur gefið þér Loargys sjálf(ur) eftir að hafa fengið þjálfun frá lækni eða hjúkrunarfræðingi, sjá leiðbeiningar í kafla 7 hér fyrir neðan.

Notið lyfið alltaf nákvæmlega eins og lýst er í þessum fylgiseðli eða eins og læknirinn, lyfjafræðingur eða hjúkrunarfræðingur hefur sagt til um. Ef ekki er ljóst hvernig nota á lyfið skal leita upplýsinga hjá læknum, lyfjafræðingi eða hjúkrunarfræðingnum.

Ef gefinn er stærri skammtur en mælt er fyrir um af Loargys

Læknirinn mun tryggja að þú fái Loargys í réttu magni. Ef þú færð of mikið Loargys gætu gildi argíníns í blóði orðið of lág. Einkenni geta m.a. verið ógleði, uppköst, niðurgangur og þreyta. Ef þig eða lækinn grunar að þú hafir fengið meira magn Loargys en þú áttir að fá, skal hafa náð eftirlit með

þér og veita þér meðferð eftir þörfum.

Ef gleymist að nota Loargys

Ef þú gleymir skammti af Loargys skaltu hafa samband við lækinn til að áætla næsta skammt eins fljótt og hægt er. Ekki á gefa tvöfaldan skammt til að bæta upp skammt sem gleymst hefur að nota og að minnsta kosti 4 dagar skulu vera á milli skammta.

Ef hætt er að nota Loargys

Læknirinn mun ákveða hvort þú eigir að hætta að nota Loargys. Ef hætt er að nota Loargys er líklegt að gildi argíníns í blóði hækki á ný.

Leitið til læknisins eða hjúkrunarfræðingsins ef þörf er á frekari upplýsingum um notkun lyfsins.

4. Hugsanlegar aukaverkanir

Eins og við á um öll lyf getur þetta lyf valdið aukaverkunum en það gerist þó ekki hjá öllum.

Mjög algengar (geta komið fyrir hjá fleiri en 1 af hverjum 10 einstaklingum)

- Aukaverkanir á stungustað. Einkenni geta m.a. verið verkur, bólga, erting, roði og útbrot umhverfis stungustaðinn.
- Ofnæmisviðbrögð (ofnæmi). Einkenni geta m.a. verið bólga í andliti, húðútbrot, skyndilegur roði á húð og öndunarerfiðleikar (mæði).

Tilkynning aukaverkana

Látið lækinn eða hjúkrunarfræðinginn vita um allar aukaverkanir. Þetta gildir einnig um aukaverkanir sem ekki er minnst á í þessum fylgiseðli. Einnig er hægt að tilkynna aukaverkanir beint **samkvæmt fyrirkomulagi sem gildir í hverju landi fyrir sig**, sjá [Appendix V](#). Með því að tilkynna aukaverkanir er hægt að hjálpa til við að auka upplýsingar um öryggi lyfsins.

5. Hvernig geyma á Loargys

Geymið lyfið þar sem börn hvorki ná til né sjá.

Ekki skal nota lyfið eftir fyrningardagsetningu sem tilgreind er á merkimiðanum. Fyrningardagsetning er síðasti dagur mánaðarins sem þar kemur fram.

Geymið í kæli (2 °C – 8 °C). Má ekki frjósa. Geymið í upprunalegum ytri umbúðum til varnar gegn ljósi.

Þegar Loargys hefur verið tekið úr kæli má geyma það við stofuhita (allt að 25 °C) í allt að 2 klukkustundir.

Ekki má skola lyfjum niður í frárennslislagnir eða fleygja þeim með heimilissorpi. Markmiðið er að vernda umhverfið.

6. Pakkningar og aðrar upplýsingar

Loargys inniheldur

- Virka innihaldsefnið er pegzilargínasi.
 - Hvert 0,4 ml hettuglas inniheldur 2 mg af pegzilargínasa.
 - Hvert 1 ml hettuglas inniheldur 5 mg af pegzilargínasa.
 - Önnur innihaldsefni eru natríumklóríð, kalíumtvívetnisfosfat, díkalíumfosfat, glýseról, saltsýra, natríumhýdroxíð og vatn fyrir stungulyf.
- Loargys inniheldur natríum og kalíum, sjá kafla 2.

Lýsing á útliti Loargys og pakkningastærðir

Loargys er litlaus eða fölgulur eða fölbléikur, tær eða örlítið ópallýsandi (perlulitaður) vökvi í gegnsæu hettuglasi úr gleri.

Í hverri pakkningu er 1 hettuglas með annaðhvort 0,4 ml eða 1 ml af stungulyfi/innrennslislyfi, lausn.

Ekki er víst að allar pakkningar séu markaðssettar.

Markaðsleyfishafi og framleiðandi

Immedica Pharma AB
113 63 Stockholm
Svíþjóð

Framleiðandi

Unimedic AB
Storjordenvägen 2
864 31 Matfors
Svíþjóð

Þessi fylgiseðill var síðast uppfærður 09/2025.

Þetta lyf hefur fengið markaðsleyfi samkvæmt ferli um „undantekningartilvik“.

Það þýðir að vegna þess hve sjaldgæfur sjúkdómurinn er hefur ekki reynst mögulegt að afla allra tilskilinna gagna um lyfið.

Lyfjastofnun Evrópu metur árlega allar nýjar upplýsingar um lyfið og fylgiseðillinn verður uppfærður eftir því sem þörf krefur.

Upplýsingar sem hægt er að nálgast annars staðar

Ítarlegar upplýsingar um lyfið eru birtar á vef Lyfjastofnunar Evrópu <https://www.ema.europa.eu>. Þar eru líka tenglar á aðra vefi um sjaldgæfa sjúkdóma og lyf við þeim.

Þessi fylgiseðill er birtur á vef Lyfjastofnunar Evrópu á tungumálum allra ríkja Evrópska efnahagssvæðisins.

Einnig má finna þennan fylgiseðil og þjálfunarefni fyrir lyfið sem hefur verið samþykkt af yfirvöldum með því að skanna QR-kóðann hér að neðan með snjallsíma eða á vefsíðunni <http://www.loargyspatient.eu>



7. Notkunarleiðbeiningar

Skrefin hér fyrir neðan lýsa því hvernig á að undirbúa og gefa Loargys heima fyrir með inndælingu undir húð. Ef þú munt sjálf(ur) sjá um að dæla lyfinu inn mun lækinn eða hjúkrunarfræðingur þjálf þig í að undirbúa og dæla inn Loargys.

Ekki dæla lyfinu inn sjálf(ur) nema þú hafir fengið þjálfun og skiljir skrefin.

Læknirinn mun ávísar þér réttum skammti og segja þér hve miklu (í ml) þú átt að dæla inn. Þú gætir þurft fleiri en eitt hettuglas til að fá réttan skammt og gætir þurft að skipta heildarskammtinum upp í fleiri en eina inndælingu. Læknirinn eða hjúkrunarfræðingur mun segja þér nákvæmlega hvað á við fyrir þig.

Hvert hettuglas er eingöngu einnota; notið alltaf nýtt hettuglas/ hettuglös fyrir hvern skammt. Ekki má blanda Loargys saman við önnur stungulyf/innrennslislyf. Má ekki hrista.

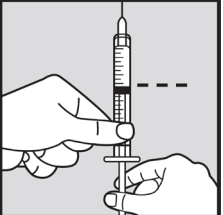
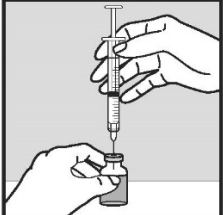
Undirbúningur:

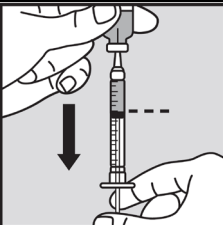
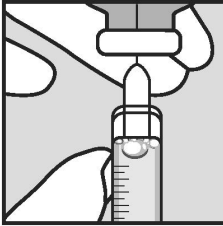
Gætið þess að allt sem þarf fyrir inndælingu sé til reiðu:

- Loargys hettuglas/hettuglös
- Kvörðuð sprauta
- 1 stór nál (t.d. 18 G) fyrir hvert hettuglas til að draga skammtinn upp í sprautuna
- 1 lítil nál (t.d. 26-27 G) fyrir hverja inndælingu
- Sprittþurrkur
- Grisjupúði
- Plástur, ef þörf krefur
- Nálabox

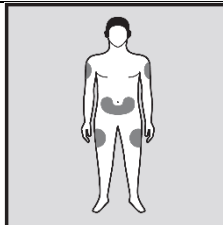
1. Athugið heiti og styrkleika á hettuglasinu/-glösunum til að ganga úr skugga um að þau innihaldi rétt lyf og að fjöldi hettuglasa sé réttur. Athugið fyrningardagsetninguna á öskjunni. Ekki má nota útrunnið lyf.
2. Takið óopnað Loargys hettuglas/hettuglös úr kæli 15 til 30 mínútum fyrir fyrirhugaða inndælingu til að lausnin geti náð stofuhita. Ekki nota hitagjafa.
3. Þvoið hendur.
4. Lausnin í hettuglasinu á að vera litlaus til fölgul eða föllbleik, tær til örlítið ópallýsandi (perlulituð). Ekki nota lausnina ef hún er skýjuð eða inniheldur sýnilegar agnir.
5. Setjið hettuglasið á hreinan, sléttan flöt. Fjarlægjið plastsmellulokið af hettuglasinu.
6. Þurrkið af toppi hettuglassins með sprittþurrku og látið þorna. Ekki snerta efsta hluta hettuglassins eða láta hann komast í snertingu við nokkuð eftir að þurrkað hefur verið af honum.

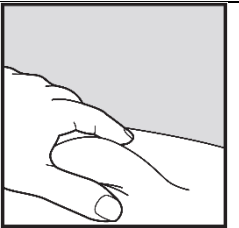
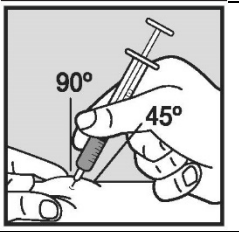
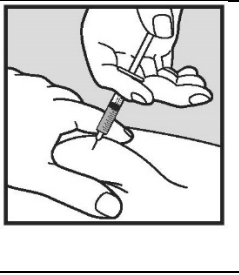
Lausnin dregin úr hettuglasinu:

1. Festið stóra nál á kvarðaða sprautuna. Takið nálarhettuna af.	
2. Togið stimpilinn út til að draga loft inn í kvörðuðu sprautuna sem jafngildir magninu sem á að draga úr hettuglasinu (í ml).	
3. Hafið hettuglasið á sléttum fleti og ýtið nálinni hægt í gegnum gúmmíinnsiglið og inn í hettuglasið. a) Fyrir stakt eða fyrsta hettuglas: Oddur nálarinnar á ekki að snerta lausnina, til að froða myndist ekki. Haldið áfram í skref 4. b) Fyrir næsta hettuglas/næstu hettuglös: Snúið hettuglasinu á hvolf og tryggið að nálaroddurinn sé í loftsvæðinu fyrir ofan lausnina til að froða myndist ekki.	

	
4. Þrýstið stimplinum niður til að dæla lofti inn í hettuglasið. 5. Haldið nálinni í hettuglasinu og haldið því á hvolfi. Hafið nálina í lausninni og dragið stimpilinn hægt út að því marki sem jafngildir því magni sem þarf.	
6. Gætið að því hvort einhverjar loftbólur séu í lausninni í sprautunni áður en nálin er fjarlægð úr hettuglasinu. Ef einhverjar loftbólur eru í henni skal áfram halda hettuglasinu á hvolfi þannig að nálin vísi upp. Pikkið gætilega í hólk sprautunnar með fingri. Þegar allar loftbólur eru efst skal þrýsta gætilega á stimpilinn til að ýta loftbólunum í gegnum nálina.	
7. Berið skammtinn sem á að gefa (í ml) saman við merkingarinnar á sprautunni til að tryggja að rétt magn af lausn hafi verið dregið inn.	
8. Togið nálina úr hettuglasinu, setjið nálarhettuna aftur á og fargið henni í ílát fyrir oddhvöss áhöld.	
9. Notaðu gæti þurft mörg hettuglös til að draga inn allt magnið (í ml). Það er gert með því að endurtaka skref 1-8 hér að ofan fyrir hvert hettuglas sem þarf til að fá heildarskammtinn (í ml) eða eins og læknirinn eða hjúkrunarfræðingur sýnir. Fylgið alltaf leiðbeiningum læknis eða hjúkrunarfræðings. Athugið að fyrir hvert nýtt hettuglas þarf einnig að nota nýja nál.	
10. Setjið litla nál á áfyllta sprautuna, ekki fjarlægja nálarhettuna. Gætið þess að nálin sitji þétt á. <u>Athugið:</u> Ef lausnin er ekki notuð strax skal verja sprautuna fyrir ljósi. Eftir undirbúning má geyma Loargys við stofuhita (allt að 25 °C) í allt að 2 klukkustundir fyrir gjöf. Eftir það má ekki lengur nota tilbúnu lausnina af Loargys og henni verður að farga.	

Gjöf skammts:

1. Takið nálarhettuna af. Haldið sprautunni þannig að nálin vísi upp og pikkið á hólkin með fingri til að fjarlægja allar loftbólur. Gangið úr skugga um að rétt magn sé í sprautunni. Rúmmál hversrar inndælingar skal ekki vera meira en 1 ml. Ef svo er þarf að dreifa mörgum inndælingum á mismunandi staði.	
2. Veljið stungustað (kvið, hlið á læri eða á hlið eða aftanverðan upphandlegg). Víxlið stungustöðum á milli skammta. Ekki dæla inn í örvef eða svæði sem hafa roðnað eða bólгнаð eða eru þrútin. Ef dælt er í kvið skal forðast svæðið umhverfis naflann. Ef fleiri en 1 inndælingu þarf fyrir stakan skammt af Loargys eiga inndælingarstaðirnir að vera með a.m.k. 3 cm millibili.	
3. Hreinsið stungustaðinn með sprittþurrku og leyfið húðinni að þorna.	

4. Klípið varlega í húðina á völdum stungustað milli þumals og vísifingurs.	
5. Haldið á sprautunni eins og penna eða pílu. Stingið nálinni inn í húðina sem haldið upp með 45° til 90° horni.	
6. Haldið áfram að klípa um húðina og þrýstið stimplinum hægt niður þar til tilætluðu magni hefur verið dælt inn. Áminning: Ef dæla þarf inn meira en 1 ml af Loargys skal skipta um stungustað og gæta þess að nýi stungustaðurinn sé meira en 3 cm frá þeim fyrri. Þrýstið stimplinum hægt inn þar til tilætluðu magni hefur verið dælt inn. Endurtakið ferlið þar til heildarskammtinum (í ml) hefur verið dælt inn. Notið alltaf nýja nál fyrir hverja inndælingu.	
7. Fjarlægið sprautuna með því að draga hana beint út. Sleppið húðinni og þrýstið gætilega á stungustaðinn í nokkrar sekúndur með grisjupúða. Setjið plástur á ef nauðsyn krefur.	
8. Látið notuðu sprautuna, nálar og hettur í nálaboxið. Farga skal notuðum hettuglösum samkvæmt þeim reglum sem gilda á hverjum stað, jafnvel þótt þau séu ekki tóm.	

Skráið dagsetningu inndælingar og alla stungustaði. Þannig er auðveldara að finna nýjan stungustað fyrir næstu inndælingu.

Eftirfarandi upplýsingar eru einungis ætlaðar heilbrigðisstarfsmönnum:

Loargys er ætlað til innrennslis í bláæð eða inndælingar undir húð. Viðhafið smitgát þegar Loargys er undirbúið og gefið.

Má ekki hrista.

Leiðbeiningar fyrir undirbúning

- Ákvarða skal heildarmagn Loargys (og fjölda hettuglasa sem þarf) út frá þyngd sjúklings og skammtastærð.
- Takið hettuglasið/hettuglösin úr kæli til að þau nái stofuhita.
- Skoðið útlit hettuglassins með tilliti til agna og upplitarar fyrir lyfjagjöf.
 - Loargys er litlaus til fölgulur eða fölbleikur, tær til örlítið ópallýsandi vökvi, að mestu leyti án sýnilegra agna.
 - Fargið öllum hettuglösum sem ekki samræmast þessari lýsingu.
- Dragið fyrirhugaðan skammt inn í sprautuna.
- Sýnt hefur verið fram á efna- og eðlisfræðilegan stöðugleika tilbúna skammtsins í 2 klukkustundir þegar hann er geymdur í allt að 25 °C stofuhita eða í allt að 4 klukkustundir við geymslu við 2 °C til 8 °C í kæli. Ef lyfið er ekki notað innan þessara tímamarka verður að farga því. Frá örverufræðilegu sjónarmiði ætti að nota lyfið strax eftir blöndun.

Fyrir gjöf í bláæð

- Þynnið með 9 mg/ml natríumklóríði (0,9%) stungulyfi, lausn til að ná tilætluðu

- innrennslismagni (hámarksþéttni pegzilargínasi er 0,5 mg/ml).
- Gefið með innrennsli á a.m.k. 30 mínútum.
- Ekki blanda öðrum lyfjum saman við Loargys eða gefa önnur lyf með innrennsli á sama tíma með sama legg.

Fyrir gjöf undir húð

- Gefið óþynnta lausn með inndælingu undir húð í kvið, hlið á læri eða á hlið eða aftanverðan upphandlegg. Víxlið stungustöðum á milli skammta.
- Ekki dæla inn í örvef eða svæði sem hafa roðnað eða bólгнаð eða eru þrútin.
- Ef dælt er í kvið skal forðast svæðið umhverfis naflann.
- Ef fleiri en 1 inndælingu þarf fyrir stakan skammt af Loargys eiga inndælingarstaðirnir að vera með a.m.k. 3 cm millibili.

Fargið ónotuðum hlutum lyfsins.

Engin sérstök fyrirmæli um förgun.