

Foglio illustrativo: informazioni per il paziente

Loargys 5 mg/mL soluzione per iniezione/infusione Pegzilarginasi

▼ Medicinale sottoposto a monitoraggio addizionale. Ciò permetterà la rapida identificazione di nuove informazioni sulla sicurezza. Lei può contribuire segnalando qualsiasi effetto indesiderato riscontrato durante l'assunzione di questo medicinale. Vedere la fine del paragrafo 4 per le informazioni su come segnalare gli effetti indesiderati.

Legga attentamente questo foglio prima che le venga somministrato questo medicinale perché contiene importanti informazioni per lei.

- Conservi questo foglio. Potrebbe aver bisogno di leggerlo di nuovo.
- Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o all'infermiere.
- Se si manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o all'infermiere. Vedere paragrafo 4.

Contenuto di questo foglio

1. Cos'è Loargys e a cosa serve
2. Cosa deve sapere prima di prendere Loargys
3. Come viene somministrato Loargys
4. Possibili effetti indesiderati
5. Come conservare Loargys
6. Contenuto della confezione e altre informazioni
7. Istruzioni per l'uso

1. Cos'è Loargys e a cosa serve

Loargys contiene il principio attivo pegzilarginasi, che è un enzima umano modificato prodotto con la tecnologia del DNA ricombinante. Il medicinale è utilizzato per il trattamento del deficit di arginasi 1 (ARG1-D), noto anche come iperargininemia, in adulti, adolescenti e bambini a partire dai 2 anni di età.

I pazienti affetti da ARG1-D presentano bassi livelli di un enzima denominato arginasi. Questo enzima aiuta l'organismo a controllare i livelli di arginina, un aminoacido di cui l'organismo ha bisogno per produrre proteine. Se l'arginina non è controllata, può accumularsi nell'organismo e causare sintomi, come problemi di controllo muscolare.

Loargys è utilizzato in combinazione con altri metodi di gestione della malattia. Questi possono includere:

- una dieta povera di proteine;
- integratori alimentari con aminoacidi essenziali
- medicinali per gestire altri sintomi della malattia, come i medicinali che riducono i livelli di ammoniaca nell'organismo.

Come funziona Loargys

Pegzilarginasi, il principio attivo di Loargys, agisce in modo simile all'enzima naturale arginasi, che manca o non funziona correttamente nei pazienti affetti da ARG1-D. Questo riduce i livelli di arginina nel sangue, riducendo in tal modo i sintomi della malattia.

2. Cosa deve sapere prima di prendere Loargys

Non prenda Loargys

- se ha avuto una grave reazione allergica a pegzilarginasi o ad uno qualsiasi degli altri componenti di questo medicinale (elencati al paragrafo 6).

Avvertenze e precauzioni

Loargys può provocare reazioni allergiche. È più probabile che ciò si verifichi dopo le prime dosi, ma può verificarsi anche più avanti nel corso del trattamento.

Se possibile, interrompa immediatamente la somministrazione e segua le indicazioni del medico, cercando immediata assistenza medica se manifesta uno qualsiasi dei seguenti sintomi di grave reazione allergica: orticaria, prurito generalizzato, senso di costrizione toracica, respirazione difficoltosa o bassa pressione sanguigna. Il medico può decidere che lei ha bisogno di un trattamento terapeutico supplementare per prevenire o trattare una reazione allergica.

Durante il trattamento, il medico effettuerà esami del sangue per verificare quale dose di Loargys sia corretta per lei.

Bambini e adolescenti

Il medicinale non deve essere usato nei bambini di età inferiore ai 2 anni, poiché non è noto se Loargys sia sicuro ed efficace in questa fascia di età.

Altri medicinali e Loargys

Informi il medico se sta assumendo, ha recentemente assunto o potrebbe assumere qualsiasi altro medicinale.

Gravidanza, allattamento e fertilità

Se è in corso una gravidanza, se sospetta o sta pianificando una gravidanza o se sta allattando con latte materno chieda consiglio al medico prima di usare questo medicinale. L'uso di Loargys non è raccomandato in caso di gravidanza.

Non è noto se il medicinale passi nel latte materno. Se sta allattando, chieda consiglio al medico prima di prendere questo medicinale. Il medico la aiuterà a decidere se interrompere l'allattamento o il trattamento.

Guida di veicoli e utilizzo di macchinari

Loargys non altera o altera in modo trascurabile la capacità di guidare veicoli e di usare macchinari.

Loargys contiene sodio e potassio

Questo medicinale contiene meno di 1 mmol di sodio (23 mg) per dose, questo significa che è essenzialmente "privo di sodio". Questo medicinale contiene potassio, meno di 1 mmol (39 mg) per dose, questo significa che è essenzialmente "privo di potassio".

3. Come viene somministrato Loargys

Loargys le sarà somministrato da un operatore sanitario. Il medico deciderà la quantità di Loargys che le verrà somministrata.

La dose iniziale raccomandata di Loargys è di 0,1 mg per chilogrammo di peso corporeo, da assumere una volta alla settimana. La dose può essere aumentata o ridotta dal medico per tenere sotto controllo i livelli di arginina nel sangue. Il medico effettuerà regolarmente esami del sangue per controllare i livelli di arginina e, se necessario, modificare la dose.

Loargys è somministrato come infusione (goccia a goccia) direttamente nella vena o come iniezione sottocutanea, secondo quanto ritenuto opportuno dal medico.

Il medico può decidere che Loargys può esserle somministrato a casa, sotto forma di iniezione sottocutanea. Dopo aver ricevuto istruzioni dal medico o dall'infermiere, può praticarsi l'iniezione di Loargys da solo (vedere le istruzioni nel paragrafo 7 di seguito).

Usi sempre questo medicinale seguendo sempre esattamente quanto riportato in questo foglio

illustrativo o le istruzioni del medico, del farmacista o dell'infermiere. Se ha dubbi, consulti il medico, il farmacista o l'infermiere.

Se prende più Loargys di quanto deve

Il medico si assicurerà che lei prenda la giusta quantità di Loargys. Se le è stata somministrata una quantità eccessiva di Loargys, i livelli di arginina nel sangue potrebbero diventare troppo bassi. I sintomi possono includere nausea, vomito, diarrea e stanchezza. Se lei o il suo medico sospetta che le sia stato somministrato più Loargys di quanto avrebbe dovuto, deve essere attentamente monitorato e deve esserle somministrato il trattamento necessario.

Se dimentica di prendere Loargys

Se ha dimenticato una dose di Loargys, contatti il medico per programmare la dose successiva il prima possibile. Non le deve essere somministrata una dose doppia per compensare la dimenticanza della dose e devono trascorrere almeno 4 giorni tra una dose e l'altra.

Se interrompe il trattamento con Loargys

Il medico deciderà se deve interrompere l'assunzione di Loargys. Se interrompe il trattamento con Loargys, è probabile che il livello di arginina nel sangue aumenti nuovamente.

Se ha qualsiasi dubbio sull'uso di questo medicinale, si rivolga al medico o all'infermiere.

4. Possibili effetti indesiderati

Come tutti i medicinali, questo medicinale può causare effetti indesiderati, sebbene non tutte le persone li manifestino.

Molto comune (può interessare più di una 1 persona su 10):

- reazione al sito di iniezione. I sintomi possono includere dolore, gonfiore, irritazione, arrossamento ed eruzione cutanea intorno al sito di iniezione.
- reazione allergica (ipersensibilità). I sintomi possono includere gonfiore del viso, eruzione cutanea, arrossamento improvviso della pelle (rossore) e respiro corto (dispnea).

Segnalazione degli effetti indesiderati

Se manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o all'infermiere. Può inoltre segnalare gli effetti indesiderati direttamente tramite [il sistema nazionale di segnalazione riportato nell'allegato V](#). Segnalando gli effetti indesiderati può contribuire a fornire maggiori informazioni sulla sicurezza di questo medicinale.

5. Come conservare Loargys

Conservi questo medicinale fuori dalla vista e dalla portata dei bambini.

Non usi questo medicinale dopo la data di scadenza che è riportata sull'etichetta. La data di scadenza si riferisce all'ultimo giorno di quel mese.

Conservare in frigorifero (2 °C - 8 °C). Non congelare. Conservare nella scatola originale per proteggere il medicinale dalla luce.

Una volta tolto dal frigorifero, Loargys può essere conservato per 2 ore a temperatura ambiente fino a 25°C.

Non getti alcun medicinale nell'acqua di scarico e nei rifiuti domestici. Questo aiuterà a proteggere l'ambiente.

6. Contenuto della confezione e altre informazioni

Cosa contiene Loargys

- Il principio attivo è pegzilarginasi.
- Ogni flaconcino da 0,4 mL contiene 2 mg di pegzilarginasi.
- Ogni flaconcino da 1 mL contiene 5 mg di pegzilarginasi.
- Gli altri componenti sono sodio cloruro, potassio diidrogeno fosfato, dipotassio fosfato, glicerolo, acido cloridrico, sodio idrossido e acqua per preparazioni iniettabili. Loargys contiene sodio e potassio (cfr. sezione 2).

Descrizione dell'aspetto di Loargys e contenuto della confezione

Loargys è un liquido da incolore a leggermente giallo o leggermente rosa, da limpido a leggermente opalescente (perlaceo), in un flaconcino di vetro trasparente.

Ogni confezione contiene 1 flaconcino con 0,4 ml o 1 mL di soluzione iniettabile/per infusione.

È possibile che non tutte le confezioni siano commercializzate.

Titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio e produttore

Immedica Pharma AB
113 63 Stoccolma
Svezia

Produttore

Unimedic AB
Storjordenvägen 2
864 31 Matfors
Svezia

Questo foglio illustrativo è stato aggiornato 09/2025.

A questo medicinale è stata rilasciata un'autorizzazione in "circostanze eccezionali". Ciò significa che data la rarità della malattia non è stato possibile ottenere informazioni complete su questo medicinale. L'Agenzia europea per i medicinali esaminerà annualmente qualsiasi nuova informazione su questo medicinale e questo foglio illustrativo verrà aggiornato, se necessario.

Altre fonti d'informazioni

Informazioni più dettagliate su questo medicinale sono disponibili sul sito web dell'Agenzia europea dei medicinali, <https://www.ema.europa.eu>. Inoltre, sono riportati link ad altri siti web su malattie rare e relativi trattamenti terapeutici.

Questo foglio è disponibile in tutte le lingue dell'Unione europea/dello Spazio economico europeo sul sito web dell'Agenzia europea dei medicinali.

È possibile trovare questo foglio illustrativo e i materiali di formazione approvati dalle autorità regolatorie su questo medicinale anche effettuando una scansione del codice QR riportato di seguito con uno smartphone o tramite il sito web <http://www.loargyspatient.eu>



7. Istruzioni per l'uso

Le fasi riportate di seguito descrivono come preparare e somministrare Loargys a casa, per iniezione sottocutanea. Se si sta iniettando questo medicinale a se stesso, riceverà istruzioni su come preparare e iniettare Loargys da parte del medico o dell'infermiere.

Non si inietti questo medicinale da solo, a meno che non abbia ricevuto istruzioni e non abbia compreso le fasi.

Il medico le prescriverà la dose corretta e le dirà il volume (in mL) da iniettare. Potrebbe essere necessario più di un flaconcino per ottenere la dose corretta e potrebbe essere necessario suddividere la dose totale in più di un'iniezione. Il medico o l'infermiere le dirà esattamente cosa è giusto per lei.

Ogni flaconcino è esclusivamente monouso, utilizzi sempre uno o più flaconcini nuovi per ciascuna dose.

Loargys non deve essere miscelato con altre soluzioni per iniezione o infusione.

Non agitare.

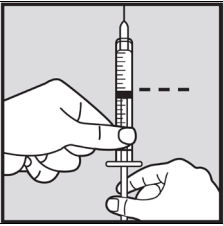
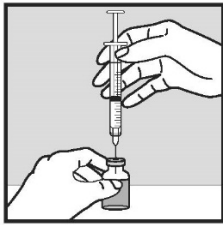
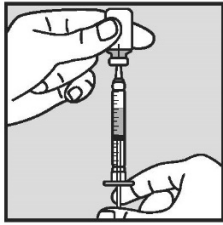
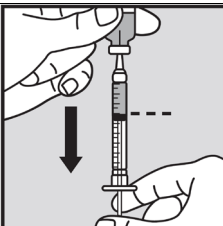
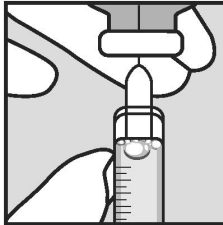
Preparazione

Si assicuri di disporre di tutto il necessario per l'iniezione, o le iniezioni:

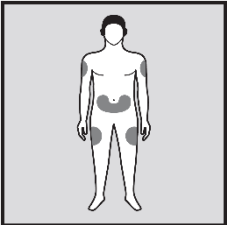
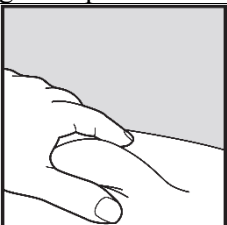
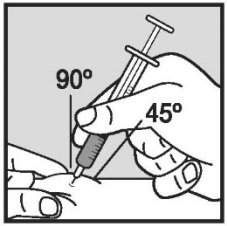
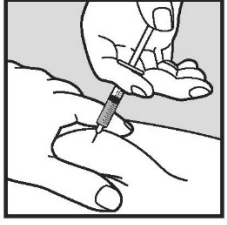
- flaconcini di Loargys;
- una siringa graduata;
- 1 ago grande (ad es. calibro 18) per flaconcino, per prelevare la dose;
- 1 ago piccolo (ad es. calibro 26-27) per iniezione;
- salviette alcoliche;
- tampone di garza;
- cerotto, se necessario;
- contenitore per oggetti taglienti.

1. Controllare il nome e il dosaggio del(i) flaconcino(i) per assicurarsi che contenga/che contengano il medicinale corretto e assicurarsi di avere il numero corretto di flaconcini a portata di mano. Verificare la data di scadenza sulla scatola. Non utilizzare se il prodotto è scaduto.
2. Togliere il flaconcino, o i flaconcini, di Loargys non aperti dal frigorifero da 15 a 30 minuti prima dell'iniezione per consentire alla soluzione di raggiungere la temperatura ambiente. Non utilizzare calore esterno.
3. Lavarsi le mani
4. La soluzione nel flaconcino deve essere da incolore a leggermente gialla o leggermente rosa, da limpida a leggermente opalescente (perlata). Non usare se la soluzione è torbida o contiene particelle visibili.
5. Collocare il flaconcino su una superficie piana pulita. Rimuovere la capsula di chiusura a strappo di plastica dal flaconcino.
6. Pulire la parte superiore del flaconcino con un batuffolo imbevuto di alcool e lasciar asciugare all'aria. Non toccare la parte superiore del flaconcino o lasciare che entri in contatto con qualcos'altro una volta pulito.

Prelevare la soluzione dal flaconcino:

1. Applicare un ago grande alla siringa graduata. Togliere il tappo dell'ago.	
2. Tirare indietro lo stantuffo per aspirare aria nella siringa graduata, pari al volume da aspirare dal flaconcino (in mL).	
3. Tenere il flaconcino su una superficie piana, inserire lentamente l'ago attraverso il sigillo di gomma all'interno del flaconcino. a) Per un solo flaconcino o per il primo flaconcino: la punta dell'ago non deve venire a contatto con la soluzione per evitare la formazione di schiuma. Proseguire con il passaggio 4. b) Per i flaconcini successivi: capovolgere il flaconcino, assicurarsi che la punta dell'ago si trovi nello spazio d'aria sopra la soluzione per evitare la formazione di schiuma.	 
4. Spingere lentamente lo stantuffo per iniettare l'aria nel flaconcino.	
5. Mantenere l'ago nel flaconcino e tenerlo capovolto. Con l'ago nella soluzione, tirare lentamente lo stantuffo fino al segno corrispondente al volume necessario.	
6. Prima di rimuovere l'ago dal flaconcino, controllare la soluzione nella siringa per rilevare la presenza di bolle d'aria. In presenza di bolle, continuare a tenere il flaconcino capovolto con l'ago rivolto verso l'alto. Picchiettare delicatamente il cilindro della siringa con il dito; una volta che tutte le bolle d'aria sono situate in alto, spingere delicatamente lo stantuffo per far uscire le bolle attraverso l'ago.	
7. Controllare la dose (in mL) con i segni della scala graduata riportata sulla siringa per verificare di aver aspirato la quantità corretta di soluzione.	
8. Estrarre l'ago dal flaconcino, rimettere il tappo sull'ago e gettarlo nel contenitore per oggetti taglienti.	
9. Può essere necessario utilizzare più flaconcini per aspirare tutto il volume previsto (in mL). A tal fine, ripetere i passaggi da 1 a 8 sopra riportati per ogni flaconcino necessario per ottenere la dose totale (in mL) o come indicato dal medico o dall'infermiere. Seguire sempre le istruzioni fornite dal medico o dall'infermiere. Tenere presente che per ogni nuovo flaconcino si deve utilizzare anche un ago nuovo.	
10. Inserire un ago piccolo sulla siringa riempita, senza togliere il tappo dall'ago. Assicurarsi che l'ago sia ben serrato.	
Nota: se la soluzione non viene utilizzata immediatamente, proteggere la siringa dalla luce. Dopo la preparazione, Loargys può essere conservato a temperatura ambiente (fino a 25 °C) per un massimo di 2 ore prima della somministrazione. Una volta trascorso questo tempo dalla preparazione, Loargys non può più essere utilizzato e deve essere eliminato.	

Somministrazione della dose

1. Togliere il tappo dell'ago. Tenere la siringa con l'ago rivolto verso l'alto e picchiare il cilindro della siringa con il dito per rimuovere eventuali bolle d'aria. Controllare visivamente che il volume contenuto nella siringa sia corretto. Il volume per iniezione non deve superare 1 mL. In tal caso, devono essere iniettate più iniezioni in siti diversi.	
2. Scegliere una sede di iniezione (addome, lato della coscia o il lato o la parte posteriore della parte superiore delle braccia). Cambiare a rotazione i siti di iniezione tra una dose e l'altra. Non iniettare nel tessuto cicatriziale o nelle zone arrossate, infiammate o gonfie. In caso di iniezione nell'addome, evitare la zona che circonda direttamente l'ombelico. Se è necessaria più di un'iniezione per una singola dose di Loargys, i siti di iniezione devono essere distanti almeno 3 cm l'uno dall'altro.	
3. Pulire il sito di iniezione con un batuffolo imbevuto di alcool e lasciare asciugare la pelle.	
4. Pizzicare leggermente la pelle del sito di iniezione scelto tra il pollice e il dito indice.	
5. Tenere la siringa come una matita o una freccetta. Inserire l'ago nella pelle sollevata con un angolo compreso tra 45° e 90°.	
6. Continuando a pizzicare la pelle, spingere lentamente lo stantuffo fino ad iniettare il volume desiderato. Promemoria: se è necessario iniettare un volume di Loargys superiore a 1 mL, cambiare il sito di iniezione assicurandosi che il nuovo sito di iniezione si trovi a più di 3 cm di distanza dal precedente. Premere lentamente lo stantuffo fino ad iniettare il volume necessario. Ripetere l'operazione finché non sarà stata iniettata la dose totale (in mL). Utilizzare sempre un nuovo ago piccolo per ciascuna iniezione.	
7. Rimuovere la siringa tirandola dritto. Rilasciare la pelle pizzicata e premere delicatamente una garza sul sito di iniezione per alcuni secondi. Se necessario, applicare un cerotto.	
8. Inserire la siringa, gli aghi e i tappi usati nel contenitore per oggetti taglienti. I flaconcini utilizzati, anche se non vuoti, devono essere smaltiti in conformità alle linee guida locali.	

Annotare la data dell'iniezione e tutti i siti in cui è stata iniettata. Questo la aiuta a utilizzare un sito di iniezione diverso per l'iniezione successiva.

Le informazioni seguenti sono destinate esclusivamente agli operatori sanitari:

Loargys è indicato per infusione endovenosa o sottocutanea.

Utilizzare la tecnica asettica per la preparazione e la somministrazione di Loargys.

Non agitare.

Istruzioni per la preparazione

- Determinare il volume totale di Loargys da somministrare (e il numero di flaconcini necessari) in base al peso e al livello di dose del paziente.
- Rimuovere il(i) flaconcino(i) dal frigorifero in modo che raggiunga(no) la temperatura ambiente.
- Prima della somministrazione controllare visivamente il flaconcino per verificare l'eventuale presenza di particelle e alterazione del colore.
 - Loargys è un liquido da incolore a leggermente giallo o leggermente rosa, da limpido a leggermente opalescente, sostanzialmente privo di particelle estranee visibili.
 - Eliminare qualsiasi flaconcino, o i flaconcini, che non corrispondono a questo aspetto.
- Prelevare la dose prevista nella siringa.
- La stabilità chimica e fisica della dose preparata è stata dimostrata per 2 ore quando il prodotto è conservato a temperatura ambiente fino a 25° C o fino a 4 ore se conservato refrigerato a una temperatura compresa tra 2° C e 8° C. Se il prodotto non è utilizzato entro questi termini, deve essere smaltito. Da un punto di vista microbiologico, il prodotto deve essere utilizzato immediatamente dopo la ricostituzione.

Per somministrazione endovenosa

- Diluire con soluzione iniettabile di sodio cloruro 9 mg/mL (0,9 %) per ottenere il volume desiderato di infusione (concentrazione massima di pegzilarginasi 0,5 mg/mL).
- Somministrare l'infusione endovenosa per almeno 30 minuti.
- Non miscelare altri medicinali con Loargys o somministrare contemporaneamente altri medicinali attraverso la stessa sede di accesso per via endovenosa.

Per somministrazione sottocutanea

- Somministrare la soluzione non diluita come iniezione sottocutanea nell'addome, nella parte laterale della coscia o nella parte laterale o posteriore della parte superiore delle braccia. Cambiare a rotazione i siti di iniezione tra una dose e l'altra.
- Non iniettare nel tessuto cicatriziale o nelle zone arrossate, infiammate o tumefatte.
- In caso di iniezione nell'addome, evitare la zona che circonda direttamente l'ombelico.
- Se è necessaria più di un'iniezione per una singola dose di Loargys, i siti di iniezione devono essere distanti almeno 3 cm l'uno dall'altro.

Smaltire la parte non utilizzata del medicinale.

Nessuna istruzione particolare per lo smaltimento.