

Notice : Information du patient

Loargys 5 mg/mL solution injectable/pour perfusion pegzilarginase

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité. Vous pouvez y contribuer en signalant tout effet indésirable que vous observez. Voir en fin de rubrique 4 comment déclarer les effets indésirables.

Veuillez lire attentivement cette notice avant d'utiliser ce médicament car elle contient des informations importantes pour vous.

- Gardez cette notice. Vous pourriez avoir besoin de la relire.
- Si vous avez d'autres questions, interrogez votre médecin ou votre infirmier/ère.
- Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin ou à votre infirmier/ère. Cela s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans cette notice. Voir rubrique 4.

Que contient cette notice

1. Qu'est-ce que Loargys et dans quels cas est-il utilisé
2. Quelles sont les informations à connaître avant de recevoir Loargys
3. Comment Loargys est-il administré
4. Quels sont les effets indésirables éventuels ?
5. Comment conserver Loargys
6. Contenu de l'emballage et autres informations
7. Consignes d'utilisation

1. Qu'est-ce que Loargys et dans quels cas est-il utilisé

Loargys contient la substance active pegzilarginase, qui est une enzyme humaine modifiée produite par la technologie de l'ADN recombinant. Le médicament est utilisé pour traiter le déficit en arginase 1 (ARG1-D), également connu sous le nom d'hyperargininémie, chez les adultes, les adolescents et les enfants âgés de 2 ans et plus.

Les patients atteints d'ARG1-D présentent de faibles taux d'une enzyme appelée arginase. Cette enzyme aide l'organisme à contrôler les taux d'arginine, un acide aminé dont votre organisme a besoin pour fabriquer des protéines. Si l'arginine n'est pas contrôlée, elle peut s'accumuler dans le corps et provoquer des symptômes tels que des difficultés à contrôler les muscles.

Loargys est utilisé en association avec une prise en charge individualisée de la maladie, laquelle peut inclure :

- un régime alimentaire pauvre en protéines
- des compléments alimentaires contenant des acides aminés essentiels
- des médicaments destinés à prendre en charge d'autres symptômes de la maladie, tels que des médicaments qui diminuent les taux d'ammoniaque dans votre organisme.

Comment Loargys agit-il

La pegzilarginase, la substance active de Loargys, agit de la même façon que l'enzyme naturelle arginase, qui fait défaut ou ne fonctionne pas correctement chez les patients atteints d'ARG1-D, ce qui a pour effet de réduire les taux d'arginine dans le sang, atténuant ainsi les symptômes de la maladie.

2. Quelles sont les informations à connaître avant de recevoir Loargys

Vous ne devez pas recevoir de Loargys

- Si vous avez eu une réaction allergique grave à la pegzilarginase ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament (mentionnés à la rubrique 6).

Avertissements et précautions

Loargys peut provoquer des réactions allergiques. Cette situation se produit le plus souvent à la suite des premières doses, mais elle peut également survenir plus tard au cours du traitement.

Si possible, arrêtez l'administration immédiatement et suivez les conseils de votre médecin, notamment la nécessité d'obtenir une assistance médicale immédiate, si vous présentez l'un des symptômes d'une réaction allergique grave tel que : urticaire, démangeaisons généralisées, oppression thoracique, difficulté à respirer ou tension artérielle basse. Votre médecin peut vous prescrire un traitement médical supplémentaire pour prévenir ou traiter une réaction allergique.

Pendant votre traitement, votre médecin effectuera des analyses sanguines pour vérifier quelle est la dose de Loargys qui vous convient.

Enfants et adolescents

Le médicament ne doit pas être utilisé chez les enfants de moins de 2 ans, car on ne sait pas si Loargys est sûr et efficace dans cette tranche d'âge.

Autres médicaments et Loargys

Informez votre médecin si vous prenez, avez récemment pris ou pourriez prendre tout autre médicament.

Grossesse, allaitement et fertilité

Si vous êtes enceinte ou que vous allaitez, si vous pensez être enceinte ou planifiez une grossesse, demandez conseil à votre médecin avant d'utiliser ce médicament. L'utilisation de Loargys n'est pas recommandée en cas de grossesse.

On ne sait pas si le médicament passe dans le lait maternel. Si vous allaitez, demandez conseil à votre médecin avant de prendre ce médicament. Votre médecin vous aidera à décider d'arrêter ou non l'allaitement ou d'arrêter le traitement.

Conduite de véhicules et utilisation de machines

Loargys n'a que très peu d'effet, voire aucun, sur l'aptitude à conduire des véhicules et à utiliser des machines.

Loargys contient du sodium et du potassium

Ce médicament contient moins de 1 mmol (23 mg) de sodium par dose, c.-à-d. qu'il est essentiellement « sans sodium ». Ce médicament contient moins de 1 mmol de potassium (39 mg) par dose, c.-à-d. qu'il est essentiellement « sans potassium ».

3. Comment Loargys est-il administré

Loargys vous sera prescrit par un professionnel de santé. Votre médecin décidera de la quantité de Loargys que vous recevrez.

La dose initiale recommandée de Loargys est de 0,1 mg par kilogramme de poids corporel, prise une fois par semaine. La dose peut être augmentée ou diminuée par votre médecin pour maintenir votre taux sanguin d'arginine sous contrôle. Votre médecin effectuera régulièrement des tests sanguins pour vérifier les taux sanguins d'arginine et modifier votre dose si nécessaire.

Loargys est administré par perfusion (goutte-à-goutte) directement dans une veine ou par injection sous-cutanée, selon ce que votre médecin juge approprié.

Votre médecin peut décider que Loargys sera administré à domicile, par injection sous-cutanée. Après avoir été formé par le médecin ou l'infirmier, vous pouvez vous injecter vous-même Loargys (voir les

instructions à la rubrique 7 ci-dessous).

Utilisez toujours ce médicament exactement comme décrit dans cette notice, ou comme votre médecin, pharmacien ou infirmier vous a dit de le faire. Vérifiez auprès de votre médecin, de votre pharmacien ou de votre infirmier/ère en cas de doute.

Si vous recevez plus de Loargys que vous n'auriez dû

Votre médecin veillera à ce que vous receviez la quantité appropriée de Loargys. Si vous avez reçu trop de Loargys, votre taux d'arginine dans le sang peut devenir trop faible. Les symptômes peuvent comprendre des nausées, des vomissements, une diarrhée et de la fatigue. Si vous ou votre médecin soupçonnez que vous avez reçu plus de Loargys que vous ne l'auriez dû, vous devrez faire l'objet d'une surveillance étroite et d'un traitement si nécessaire.

Si vous oubliez d'utiliser Loargys

Si vous avez oublié de prendre une dose de Loargys, contactez votre médecin pour programmer la dose suivante dès que possible. Vous ne devez pas recevoir de dose double pour compenser la dose que vous avez oublié de prendre et il faut attendre au moins quatre jours entre les doses.

Si vous arrêtez d'utiliser Loargys

Votre médecin décidera si vous devez cesser d'utiliser Loargys. Si vous arrêtez d'utiliser Loargys, votre taux d'arginine dans le sang risque d'augmenter à nouveau.

Si vous avez d'autres questions sur l'utilisation de ce médicament, demandez plus d'informations à votre médecin ou à votre infirmier/ère.

4. Quels sont les effets indésirables éventuels ?

Comme tous les médicaments, celui-ci peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Effets indésirables très fréquents (pouvant concerter plus d'une personne sur 10)

- Réaction au site d'injection. Les symptômes peuvent inclure une douleur, un gonflement, une irritation, une rougeur et une éruption cutanée autour du site d'injection.
- Réaction allergique (hypersensibilité). Les symptômes peuvent inclure un gonflement du visage, une éruption cutanée, une rougeur soudaine de la peau (bouffée vasomotrice) et des difficultés à respirer (dyspnée).

Déclaration des effets secondaires

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin ou à votre infirmier/ère. Cela s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans cette notice. Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement via le système national de déclaration décrit à l'[Annexe V](#). En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité du médicament.

5. Comment conserver Loargys

Tenez ce médicament hors de la vue et de la portée des enfants.

N'utilisez pas ce médicament après la date de péremption indiquée sur l'étiquette. La date de péremption correspond au dernier jour du mois indiqué.

À conserver au réfrigérateur (entre 2 °C et 8 °C). Ne pas congeler. À conserver dans l'emballage d'origine à l'abri de la lumière.

Une fois retiré du réfrigérateur, Loargys peut être conservé pendant 2 heures à température ambiante

jusqu'à 25 °C.

Ne jetez aucun médicament au tout-à-l'égout ou avec les ordures ménagères. Ces mesures contribueront à protéger l'environnement.

6. Contenu de l'emballage et autres informations

Ce que contient Loargys

- La substance active est la pegzilarginase.
- Chaque flacon de 0,4 mL contient 2 mg de pegzilarginase.
- Chaque flacon de 1 mL contient 5 mg de pegzilarginase.
- Les autres composants sont le chlorure de sodium, le dihydrogénophosphate de potassium, le phosphate dipotassique, le glycérol, l'acide chlorhydrique, l'hydroxyde de sodium et l'eau pour préparations injectables.

Loargys contient du sodium et du potassium, voir rubrique 2.

Comment se présente Loargys et contenu de l'emballage extérieur

Loargys est un liquide incolore à légèrement jaune ou légèrement rose, limpide à légèrement opalescent (nacré), contenu dans un flacon en verre transparent.

Chaque boîte contient 1 flacon contenant 0,4 mL ou 1 mL de solution injectable/pour perfusion.

Toutes les présentations peuvent ne pas être commercialisées.

Titulaire de l'autorisation de mise sur le marché et fabricant

Immedica Pharma AB

113 63 Stockholm

Suède

La dernière date à laquelle cette notice a été révisée est 11/2025.

Une autorisation de mise sur le marché « sous circonstances exceptionnelles » a été délivrée pour ce médicament. Cela signifie qu'en raison de la rareté de cette maladie, il est impossible d'obtenir des informations complètes sur ce médicament.

L'Agence européenne du médicament réévaluera chaque année toute nouvelle information sur ce médicament, et, si nécessaire, cette notice sera mise à jour.

Autres sources d'informations

Des informations détaillées sur ce médicament sont disponibles sur le site internet de l'Agence européenne des médicaments : <https://www.ema.europa.eu>. Il existe aussi des liens vers d'autres sites concernant les maladies rares et leur traitement.

Cette notice est disponible dans toutes les langues de l'UE/EEE sur le site internet de l'Agence européenne des médicaments.

Vous trouverez également cette notice et le matériel de formation qui a été approuvé par les autorités réglementaires pour ce médicament en scannant le code QR ci-dessous à l'aide d'un smartphone ou sur le site web <http://www.loargyspatient.eu>.



7. Consignes d'utilisation

Les étapes ci-dessous décrivent comment préparer et administrer Loargys à domicile, par injection sous-cutanée. Si vous vous injectez vous-même ce médicament, vous serez formé(e) à préparer et à injecter Loargys par votre médecin ou votre infirmier.

Ne vous injectez pas ce médicament vous-même, sauf si vous avez reçu une formation et que vous comprenez les étapes à suivre.

Votre médecin vous prescrira la dose correcte et vous indiquera le volume (en mL) à injecter. Il se peut que vous ayez besoin de plusieurs flacons pour obtenir la dose adéquate et que vous deviez diviser la dose totale en plusieurs injections. Votre médecin ou votre infirmière vous indiquera exactement ce qui vous convient.

Chaque flacon est à usage unique seulement, utilisez toujours un ou plusieurs nouveau(x) flacon(s) pour chaque dose.

Loargys ne doit pas être mélangé avec d'autres solutions pour injection ou perfusion.

Ne pas secouer.

Préparation :

Assurez-vous de disposer de tout ce qui est nécessaire à l'injection ou aux injections:

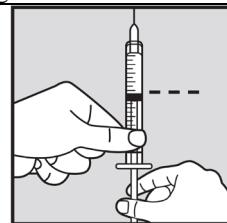
- Flacon(s) de Loargys
- Une seringue graduée
- 1 grande aiguille (p. ex. calibre 18) par flacon, pour prélever la dose
- 1 petite aiguille (p. ex. calibre 26-27) par injection
- Compresses imbibées d'alcool
- Compresses de gaze
- Pansement, si nécessaire
- Récipient pour objets tranchants

- | | |
|----|---|
| 1. | Vérifiez le nom et le dosage inscrits sur le(s) flacon(s) pour vous assurer qu'il(s) contient/contiennent le médicament approprié et que vous avez le bon nombre de flacons à portée de main. Vérifiez la date d'expiration qui figure sur l'emballage. Ne pas utiliser si le produit a expiré. |
| 2. | Sortez le(s) flacon(s) de Loargys non ouvert(s) du réfrigérateur 15 à 30 minutes avant l'injection prévue afin de permettre à la solution d'atteindre la température ambiante. Ne pas utiliser de source de chaleur externe. |
| 3. | Lavez-vous les mains. |
| 4. | La solution contenue dans le flacon doit être incolore à légèrement jaune ou légèrement rose, limpide à légèrement opalescente (nacré). Ne pas utiliser si la solution est trouble ou contient des particules visibles. |
| 5. | Placez le flacon sur une surface plane et propre. Retirez le capuchon amovible en plastique du flacon. |
| 6. | Essuyez la partie supérieure du flacon à l'aide d'une compresse imbibée d'alcool et laisser |

sécher à l'air. Ne touchez pas le sommet du flacon et évitez qu'il n'entre en contact avec quoi que ce soit, une fois essuyé.

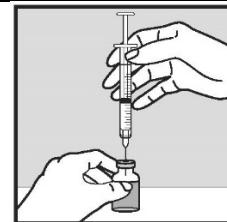
Prélèvement de la solution du flacon :

1. Fixez une grande aiguille à la seringue graduée. Retirez le capuchon de l'aiguille.
2. Tirez sur le piston pour aspirer l'air dans la seringue graduée, en quantité égale au volume à prélever dans le flacon (en mL).

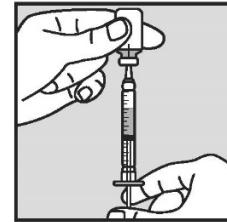


3. Maintenez le flacon sur une surface plane, insérez lentement l'aiguille à travers le joint en caoutchouc dans le flacon.

a) Pour un seul flacon ou le premier flacon : ne touchez pas la solution avec le bout de l'aiguille pour éviter la formation de mousse. Passez à l'étape 4.

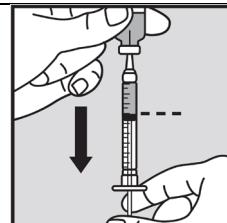


b) Pour le(s) flacon(s) suivant(s) : retournez le flacon et assurez-vous que la pointe de l'aiguille se trouve dans l'espace d'air au-dessus de la solution pour éviter la formation de mousse.

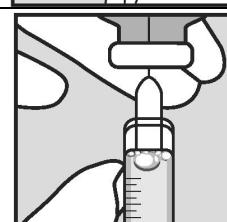


4. Poussez lentement le piston pour injecter l'air dans le flacon.

5. Maintenez l'aiguille dans le flacon en gardant le flacon retourné. Avec l'aiguille dans la solution, tirez lentement le piston jusqu'à la graduation égale au volume désiré.



6. Avant de retirer l'aiguille du flacon, vérifiez la solution contenue dans la seringue pour détecter la présence éventuelle de bulles d'air. S'il y a des bulles, continuez à tenir le flacon à l'envers, l'aiguille pointée vers le haut. Tapotez doucement du doigt le corps de la seringue. Une fois que toutes les bulles d'air se trouvent en haut, poussez doucement le piston pour expulser les bulles à travers l'aiguille.



7. Vérifiez le volume à administrer (en mL) par rapport aux graduations de la seringue pour vous assurer que vous avez prélevé la bonne quantité de solution.

8. Retirez l'aiguille du flacon, remettez le capuchon de l'aiguille et jetez l'aiguille avec son capuchon dans votre récipient pour objets tranchants.

9. Il est possible que vous deviez utiliser plusieurs flacons pour prélever le volume total (en mL). Pour ce faire, répétez les étapes 1 à 8 ci-dessus pour chaque flacon nécessaire à l'obtention de la dose totale (en mL) ou selon les indications de votre médecin ou de votre infirmier/ère. Suivez toujours les instructions de votre médecin ou de votre infirmier/ère. Veuillez noter que pour chaque nouveau flacon, vous devez également utiliser une nouvelle aiguille.

10. Placez une petite aiguille sur la seringue remplie, sans retirer le capuchon de l'aiguille. Veillez à ce que l'aiguille soit bien fixée.

Note : Si la solution n'est pas utilisée immédiatement, placez la seringue à l'abri de la lumière. Après préparation, Loargys peut être conservé à température ambiante (25 °C maximum) pendant une durée allant jusqu'à 2 heures avant d'être administré. Passé ce délai, la solution de

Loargys préparée ne peut plus être utilisée et doit être éliminée.

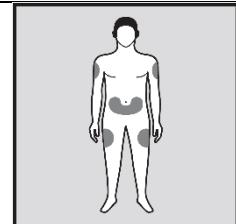
Administration de la dose :

1. Retirez le capuchon de l'aiguille. Maintenez la seringue, avec l'aiguille, pointée vers le haut et tapotez le corps de la seringue avec votre doigt pour éliminer les bulles d'air.

Vérifiez visuellement que le volume contenu dans la seringue est correct. Le volume par injection ne doit pas dépasser 1 mL. Si c'est le cas, il convient d'effectuer plusieurs injections à différents sites.

2. Choisissez un site d'injection (abdomen, côté de la cuisse, ou bien côté ou arrière de la partie supérieure du bras). Alternez les sites d'injection d'une dose à l'autre.

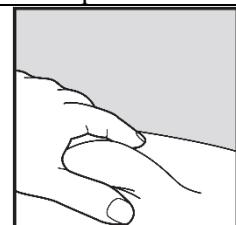
Ne pas injecter dans des tissus cicatriciels ou des zones qui sont rouges, inflammées ou gonflées. Si vous effectuez l'injection dans l'abdomen, évitez la zone qui entoure directement le nombril.



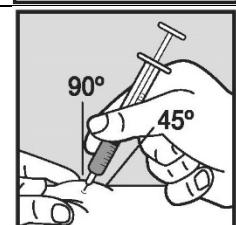
Si plusieurs injections sont nécessaires pour une dose unique de Loargys, les sites d'injection doivent être séparés d'au moins 3 cm.

3. Nettoyez le site d'injection à l'aide d'une compresse imbibée d'alcool et laissez la peau sécher.

4. Pincez doucement la peau du site d'injection choisi entre le pouce et l'index.

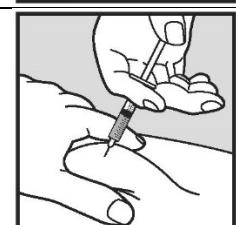


5. Tenez la seringue à la manière d'un crayon ou d'une fléchette. Insérez l'aiguille dans la peau surélevée, à un angle de 45° à 90°.



6. Tout en continuant à pincer la peau, poussez lentement le piston jusqu'à ce que vous ayez injecté le volume désiré.

Rappel : Si vous devez injecter un volume de Loargys supérieur à 1 mL, changez de site d'injection et assurez-vous que le nouveau site d'injection se trouve à plus de 3 cm du premier. Appuyez lentement sur le piston jusqu'à ce que vous ayez injecté le volume nécessaire. Répétez l'opération jusqu'à ce que vous ayez injecté la dose totale (en mL). Utilisez toujours une nouvelle petite aiguille pour chaque injection.



7. Retirez la seringue en la sortant d'un seul coup. Relâchez la peau pincée et appuyez doucement une compresse de gaze sur le site d'injection pendant quelques secondes. Appliquer un pansement si nécessaire.

8. Placez la seringue, les aiguilles et les capuchons que vous avez utilisés dans le récipient pour objets tranchants. Les flacons utilisés, même s'ils ne sont pas vides, doivent être jetés conformément à vos directives locales.

Notez la date de l'injection et tous les sites où vous avez injecté le produit. Cela vous aidera à utiliser un site d'injection différent pour l'injection suivante.

Les informations suivantes sont destinées exclusivement aux professionnels de la santé:

Loargys est destiné à la perfusion intraveineuse ou à l'injection sous-cutanée.
Utilisez une technique aseptique lors de la préparation et de l'administration de Loargys.

Ne pas secouer.

Instructions pour la préparation

- Déterminez le volume total de Loargys à administrer (et le nombre de flacons nécessaires) en fonction du poids et de la dose du patient.
- Retirez le(s) flacon(s) du réfrigérateur pour qu'il(s) atteigne(nt) la température ambiante.
- Inspectez visuellement le flacon pour détecter la présence éventuelle de particules ou d'une décoloration avant l'administration.
 - Loargys est un liquide incolore à légèrement jaune ou légèrement rose, clair à légèrement opalescent, essentiellement exempt de particules étrangères visibles.
 - Éliminez tout flacon non conforme à cette apparence.
- Prélevez la dose prévue dans la seringue.
- La stabilité chimique et physique de la dose préparée a été démontrée pendant 2 heures lorsqu'elle est conservée à température ambiante jusqu'à 25 °C, ou jusqu'à 4 heures si elle est conservée au réfrigérateur entre 2 °C et 8 °C. Si le produit n'est pas utilisé pendant ces périodes, il doit être jeté. D'un point de vue microbiologique, le médicament doit être utilisé immédiatement après reconstitution.

Pour administration intraveineuse

- Diluez avec une solution injectable de chlorure de sodium à 9 mg/mL (0,9 %) afin d'obtenir le volume de perfusion souhaité (concentration maximale de pegzilarginase: 0,5 mg/mL).
- Administrez la perfusion intraveineuse pendant au moins 30 minutes.
- Ne mélangez pas d'autres médicaments à Loargys ou ne perfusez pas d'autres médicaments en même temps, par la même voie d'accès intraveineuse.

Pour administration par voie sous-cutanée

- Administrez la solution non diluée par injection sous-cutanée dans l'abdomen, dans la partie latérale de la cuisse ou dans le côté ou l'arrière de la partie supérieure du bras. Alternez les sites d'injection d'une dose à l'autre.
- Ne pas injecter dans des tissus cicatriciels ou des zones qui sont rouges, inflammées ou gonflées.
- Si vous effectuez l'injection dans l'abdomen, évitez la zone qui entoure directement le nombril.
- Si plusieurs injections sont nécessaires pour une dose unique de Loargys, les sites d'injection doivent être séparés d'au moins 3 cm.

Éliminez la portion non utilisée du médicament.

Pas d'exigences particulières pour l'élimination.